

## THE GENE THERAPY EXPLORER

*"Den senaste utvecklingen kan kort sammanfattas såhär: Vårt epilepsiprojekt CG01 tog två viktiga steg mot kliniska studier i och med att vi slutgiltigt valde såväl CRO- som CDMO-partner. Vår projektportfölj har utökats med ytterligare ett projekt – lipodystrofiprojektet. Vi har efter förvärvet av Panion Animal Health nu full kontroll över alla immateriella tillgångar som rör CG01-projektet, vilket är viktigt i förhandlingar med potentiella partners"*

*Jan Nilsson, VD CombiGene AB (publ)*

# Delårsrapport

Januari – september 2019 för CombiGene AB (publ)

# Delårsrapport januari – september 2019 för CombiGene AB (publ)

## Tredje kvartalet juli - september 2019

- Nettoomsättning: 0 (8) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 7 050 (2 129) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster:  
-3 544 (-5 828) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,05 (-0,30) SEK.

## Perioden januari - september 2019

- Nettoomsättning: 0 (8) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 11 822 (2 179) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster:  
-8 891 (-9 987) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,14 (-0,54) SEK.
- Likviditet vid periodens utgång: 3 785 (16 569) TSEK
- Soliditet vid periodens utgång: 84,48(48,81) %.

## Verksamheten under tredje kvartalet 2019

- CombiGene fullföljer erbjudandet till aktieägarna i Panion Animal Health
- CombiGene väljer CRO-Bolaget Northern Biomedical Research som partner för kommande prekliniska biodistributions- och säkerhetsstudier
- CombiGene påkallar inlösenförfarande avseende aktier och teckningsoptioner i Panion Animal Health

## Väsentliga händelser efter periodens utgång

- CombiGene expanderar till metabola sjukdomar genom ett inlicensieringsavtal med Lipigon Pharmaceuticals och stärker därmed sin ställning som Nordens ledande genterapibolag
- CombiGene tecknar avtal med Cobra Biologics angående produktion av läkemedelskandidaten CG01

## CombiGene AB – The Gene Therapy Explorer

CombiGenes vision är att erbjuda patienter som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar möjligheter till ett bättre liv genom nyskapande genterapier. CombiGenes affärsidé är att utveckla effektiva genterapier för allvarliga sjukdomar som idag saknar adekvata behandlingsmetoder. Forskningstillgångar tas in från ett nätverk av externa forskare och utvecklas vidare fram till klinisk konceptverifiering. Läkemedelskandidater för vanligt förekommande sjukdomar kommer att samutvecklas och kommersialiseras genom strategiska partnerskap, medan CombiGene kan komma att driva utveckling och kommersialisering i egen regi för läkemedel som vänder sig till begränsade patientpopulationer.

Bolaget är publikt och är noterat på Nasdaq First North Growth Market och bolagets Certified Advisor är FNCA Sweden AB, +46 (0)852 80 03 99, info@fnca.se

### För ytterligare information:

CombiGene AB (publ)

Jan Nilsson, vd  
Tel: +46 (0)704 66 31 63  
jan.nilsson@combigene.com

Arne Ferstad, styrelseordförande  
Tel: +44 (0)749 652 61 42  
arne.ferstad@combigene.com

**www.combigene.com**

CombiGene AB (publ) Medicon Village,  
SE-223 81 Lund, Sweden  
info@combigene.com





*CombiGenes vision är att ge patienter som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar möjlighet till ett bättre liv genom nya genterapier*

## VD-ord

Årets tredje kvartal var ytterligare ett kvartal med intensivt arbete för att utveckla CombiGene till Nordens ledande genterapibolag. Kort efter kvartalets utgång materialiserades också mycket av vårt arbete i flera betydande framsteg. Man kan utan att överdriva säga att CombiGene nu är ett helt annat bolag än för bara några månader sedan. Vi har en bredare och ännu intressantare projektportfölj, vägen mot kliniska studier för CG01 är utstakad och vi är bättre rustade än någonsin i våra diskussioner med framtida partners.

Den senaste utvecklingen kan kort sammanfattas såhär: Vårt epilepsiprojekt CG01 tog två viktiga steg mot kliniska studier i och med att vi slutgiltigt valde såväl CRO- som CDMO-partner. Vår projektportfölj har utökats med ytterligare ett projekt – lipodystrofi projektet. Vi har efter förvärvet av Panion Animal Health nu full kontroll över alla immateriella tillgångar som rör CG01-projektet, vilket är viktigt i förhandlingar med potentiella partners.

### Avgörande framsteg i epilepsiprojektet

Det arbete som vi tillsammans med CGT Catapult (Catapult) lagt ner på att utveckla produktionsmetod för CG01 är nu till stora delar framgångsrikt avslutat och jag vill gärna ta tillfället i akt att tacka våra samarbetspartners på Catapult för ett fantastiskt fint arbete så här långt. Utvecklingen av produktionsmetod är ett nödvändigt steg på vägen mot att kunna tillverka CG01 i kommersiell skala. Genom det avtal vi slutit med vår CDMO-partner Cobra Biologics har vi tagit ytterligare ett viktigt steg på väg mot kliniska studier. Cobra Biologics kommer att ansvara för produktionen av CG01 för såväl kliniska studier som den kommersiella produktionen av ett i framtiden myndighetsgodkänt CG01-läkemedel.

Innan vi kan inleda de första kliniska studierna måste vi genomföra fullskaliga biodistributions- och toxikologistudier. Detta arbete kommer att utföras av vår CRO-partner Northern Biomedical Research (NBR), som vi tecknade avtal med under inledningen av september. Vi kommer först att genomföra en mindre förberedande studie tillsammans med NBR. Detta är nödvändigt för att ge material till utvecklingen av de analysmetoder som krävs för att kunna utvärdera eventuell toxisk effekt av CG01 i de följande biodistributions- och toxikologistudierna. Dessa studier startar när material från Cobra Biologics finns tillgängligt. Med såväl CDMO- som CRO partner på plats är CombiGene nu väl rustat att ta CG01 hela vägen till kliniska studier.

### CombiGene expanderar till metabola sjukdomar

Med lipodystrofi projektet, som inlicensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB (Lipigon) hösten 2019, expanderar CombiGenes verksamhet till att omfatta även metabola sjukdomar. Affärsmässigt innebär det att CombiGene utvecklar ett ytterligare projekt som har stor potential:

Eftersom lipodystrofi är en mycket sällsynt sjukdom finns det goda förutsättningar för CombiGenes kommande läkemedelskandidat att erhålla sär läkemedelsstatus. Detta innebär övergripande att utvecklingskostnaderna blir lägre och tid till marknad blir kortare. Sär läkemedel når också marknad i högre utsträckning än vanliga läkemedel. Det finns också en hög acceptans bland betalare att använda nya behandlingsmetoder för sällsynta sjukdomar och sjukdomar som idag saknar behandlingsalternativ, vilket är fallet med lipodystrofi. Eftersom vården av lipodystrofi är koncentrerad till ett fåtal nationella centra i varje land, finns det också goda möjligheter för CombiGene att till en begränsad kostnad bedriva marknadsföring och försäljning i egen regi. Antalet patienter uppgår globalt till 1 000-2 000.

Lipodystrofi är en sjukdom där fettfördelningen på kroppen är förändrad, vilket kan leda till en storvuxen kroppsform eller fettansamlingar vid hals, ansikte och bål medan armar och ben är smala. Centralt för sjukdomen är att levern lagrar upp fett, vilket leder till allvarliga komplikationer som svårbehandlad diabetes, akut bukspottkörtelinflammation, hjärt-kärlsjukdom och inflammation i levern. Patienterna drabbas också ofta av muskelsmärter och sammantaget leder det till en kraftigt försämrad livskvalitet. Lipodystrofi är därmed ett stort medicinskt problem, men kan också vara socialt handikappande.



EUROPEISKA UNIONEN  
Europeiska regionala utvecklingsfonden

CombiGene's lead project CG01 has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 823282



Avtalet vi skrivit med Lipigon innebär att CombiGene inlicensierar Lipigons projekt för behandling av lipodystrofi genom avancerad genterapi. Avtalet reglerar såväl initiala som framtida ersättningar till Lipigon, men anger också hur CombiGene och Lipigon kommer att samarbeta.

Den gemensamma ambitionen från CombiGenes och Lipigons sida är nu att utveckla ett effektivt läkemedel för behandling av lipodystrofi. CombiGene kommer att finansiera det fortsatta utvecklingsarbetet, vilket under de två första åren kommer att ske i nära samarbete med Lipigon. Finansiellt innebär avtalet att Lipigon får betalt i form av en initial betalning och förutbestämda delmålsersättningar. Framtida intäkter från antingen en vidare utlicensiering från CombiGenes sida eller från framtida kommersiell försäljning delas mellan de båda bolagen enligt överenskomna mekanismer. Vi har dessutom möjlighet att betala Lipigon med aktier i bolaget för att säkerställa att affären även minimerar en eventuell likviditetsrisk för CombiGene.

#### **Förvärv av Panion Animal Health**

I kvartalet slutfördes även vårt förvärv av Panion. Efter det att vi förvärvat mer än 90 procent av aktierna i Panion har Panions aktier och teckningsoptioner avnoterats från Spotlight Stock Market. Förvärvet av Panion innebär att vi nu har praktiska och ekonomiska synergier i utvecklingsprocessen och fullständig kontroll över våra immateriella tillgångar. Det senare är särskilt viktigt i förhållande till framtida strategiska partners.

#### **Kassaflöde, likviditet och finansiering**

CombiGenes kassaflöde uppgick i kvartalet till -18,0 miljoner kronor, vilket är cirka 11,7 miljoner kronor mer än i kvartal 2. Cirka 7,5 miljoner utgörs av engångskostnader relaterade till förvärvet av Panion. Resterande del av ökningen jämfört med kvartal 2 förklaras av att CGO1-projektet nu gått in en mycket intensiv fas där vi under kvartalet gjort betydande satsningar relaterade till produktionsutveckling och prekliniska studier samt att vi nu startar upp vårt lipodystrofiprojekt. Dessa projektrelaterade kostnader är inte av engångskaraktär utan vi kommer under återstoden av 2019 och 2020 ha en högre kostnadsnivå än tidigare för att driva våra projekt framåt med full kraft.

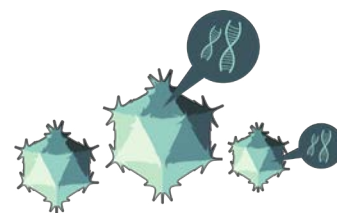
För att bland annat utan dröjsmål kunna starta upp lipodystrofiprojektet har vi tagit ett lån om 7 miljoner kronor. Vi har nyligen också fått besked



om en andra utbetalning från Horizon 2020 om 1,2 miljoner euro, vilket innebär att Horizon 2020 är nöjda med hur vi drivit CGO1-projekt så här långt.

Jag vill avslutningsvis tacka alla mina kollegor på CombiGene för ett fantastiskt arbete de senaste månaderna. Vi ser nu ett bredare och starkare CombiGene ta form och det är med stor tillförsikt och energi vi nu griper oss framtiden an.

Jan Nilsson  
vd



*Eftersom lipodystrofi är en mycket sällsynt sjukdom finns det goda förutsättningar för CombiGenes kommande läkemedelskandidat att erhålla särlekemedelsstatus*

# Några ord från vår forsknings- och utvecklingschef

Under årets tredje kvartal och i inledningen av fjärde kvartalet tecknade vi två betydelsefulla avtal som gör att vi har god kontroll över CGO1-projektets avslutande prekliniska studier och att vägen mot kliniska studier är tydligt utstakad.

- Under inledningen av september tecknade vi avtal med CRO-bolaget Northern Biomedical Research ("NBR") som är specialiserat på prekliniska studier i centrala nervsystemet (CNS). Avtalet omfattar utvärdering av läkemedelskandidaten CGO1 i en mindre förberedande studie, en biodistributionsstudie samt en säkerhetsstudie, så kallad toxikologistudie. Vi har även tecknat separata avtal med två andra CRO-bolag för genomförande av vävnads- och biokemiska analyser på materialet från dessa studier. Vi kommer först att genomföra en mindre förberedande studie tillsammans med NBR. Detta är nödvändigt för att ge material till utvecklingen av de analysmetoder som krävs för att kunna utvärdera eventuell toxisk effekt av CGO1 i de följande biodistributions- och toxikologistudierna. De fullskaliga biodistributions- och toxikologistudierna startar när material från Cobra Biologics finns tillgängligt.
- Den 14 oktober tecknade vi avtal angående produktion av läkemedelskandidaten CGO1 med det brittisk-svenska CDMO-bolaget (kontraktstillverkare) Cobra Biologics ("Cobra"). Initialt kommer Cobra producera de plasmider som behövs för produktion av CGO1 och parallellt med detta genomföra den omfattande teknologi- och metodöverföringen från Catapult. Därefter genomförs en så kallad Engineering Run där hela produktionsprocessen testas. Materialet från denna Engineering Run kommer att användas för toxikologi- och biodistributionstesterna. Avtalet omfattar även kommersiell produktion av ett i framtiden myndighetsgodkänt läkemedel.



Med dessa avtal samt inkommande betalning från Horizon 2020 har vi god kontroll över CGO1-projektets avslutande prekliniska studier och vägen mot kliniska studier är tydligt utstakad.

*Karin Agerman*  
Chief Research and Development Officer



**EUROPEISKA UNIONEN**  
Europeiska regionala utvecklingsfonden

CombiGene's lead project CGO1 has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 823282

# Genterapi attraherar stort intresse

*Genterapi är ett av de mest dynamiska områdena inom dagens läkemedelsutveckling. Vid utgången av andra kvartalet 2019 pågick 366 kliniska studier, varav 30 befann sig i fas III, den sista kliniska fasen före marknadsgodkännande. Fokus för de kliniska studierna ligger på onkologiska sjukdomar, kardiovaskulära sjukdomar samt sjukdomar relaterade till det centrala nervsystemet. Investeringarna i genterapi uppgick under 2018 till USD 9,7 miljarder.*

Det stora intresset för genterapi från såväl internationella forskare som professionella investerare förklaras av de unika fördelar som genterapin erbjuder. För det första har genterapi potentialen att behandla sjukdomar som idag saknar adekvata behandlingsmetoder. För det andra kan genterapin genom ett eller ett fåtal behandlingstillfällen erbjuda långvarig, möjligen livslång effekt, vilket ska jämföras med traditionella läkemedel som ofta måste tas flera gånger om dagen livet ut.

Att genterapi är ett av de intressantaste områdena inom läkemedelsutveckling bekräftas också av de senaste årens framgångar i USA. Den 30 augusti 2017 godkände den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för första gången ett genterapeutiskt läkemedel för den amerikanska marknaden och därefter har ytterligare genterapier godkänts. FDA har också demonstrerat en stor tilltro till genterapi genom att förenkla regelverket för denna typ av läkemedel. CombiGene gör bedömningen att antalet godkända genterapier kommer att öka snabbt under de närmaste åren och bli ett etablerat behandlingsalternativ inom en rad områden.

## Epilepsi – ett globalt problem

Epilepsi är ett stort globalt problem. Uppskattningar visar att 0,6 till 0,8 procent av jordens befolkning lider av sjukdomen. 2016 fanns det 5,7 miljoner diagnostiserade epilepsipatienter i USA, EU5 och Japan. Cirka en tredjedel av dessa patienter svarar inte på traditionell medicinsk behandling. Av dessa har cirka 60 procent en fokal epilepsi, dvs en epilepsi där anfallet uppkommer i ett väldefinierat område i hjärnan. Det är dessa epileptiker som CombiGene avser att hjälpa med sin läkemedelskandidat CGO1.

## Enorm potential för CombiGene

Enbart i USA tillkommer ungefär 14 000 läkemedelsresistenta patienter med en fokal epilepsi varje år som skulle kunna vara kandidater för kirurgi. CombiGene gör bedömningen att det är realistiskt att 10–20 procent av dessa patienter skulle kunna behandlas med bolagets läkemedelskandidat CGO1.

Om man för exemplets skull antar att terapikostnaden per patient skulle uppgå till USD 200 000 (vilket jämfört med godkända genterapiläkemedel är lågt), ger det en omsättning om mellan €280–560 miljoner. Motsvarande omsättningssiffror globalt beräknas till €0,9–1,8 miljarder.

## CGO1 – milstolpar

### 2016

- Första screeningstudie genomförd
- Val av slutgiltig läkemedelskandidat

### 2017

- Data från dos-responsstudie visar dosberoende anti-epileptisk effekt
- Preklinisk proof-of-concept-studie inleds
- Studie i mänsklig epileptisk hjärnvävnad bekräftar att den tar upp läkemedelskandidaten CGO1

### 2018

- Finala data från den prekliniska konceptverifieringsstudien bekräftar positiva behandlingsresultat i form av signifikant färre och kortare anfall
- CombiGene inleder samarbete med brittiska CGT Catapult om att ta fram en GMP-klassad tillverkningsmetod för CGO1
- Horizon 2020, EU:s ramprogram för forskning och utveckling, anslår € 3,36 miljoner för utveckling och kommersialisering av CGO1

### 2019

- Förvärv av Panion Animal Health ger CombiGene fullständig kontroll över samtliga immateriella tillgångar i CGO1-projektet.
- Avtal med CRO-bolaget Northern Biomedical Research som är specialiserat på prekliniska studier i centrala nervsystemet. Avtalet omfattar utvärdering av läkemedelskandidaten CGO1 i en mindre pilotstudie, en biodistributionsstudie samt en säkerhetsstudie, en så kallad toxikologistudie.
- Avtal med CDMO-bolaget (kontraktstillverkare) Cobra Biologics angående GMP-produktion av CGO1 för kliniska studier och framtida kommersiell produktion.



*Lipodystrofi är en sjukdom där fettfördelningen på kroppen är förändrad, vilket kan leda till en storvuxen kroppsform eller fettansamlingar vid hals, ansikte och bål medan armar och ben är smala ... Lipodystrofi är därmed ett stort medicinskt problem, men kan också vara socialt handikappande.*



# Lipodystrofiprojektet

*Med lipodystrofiprojektet, som inlicensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB (Lipigon) hösten 2019, expanderar CombiGenes verksamhet till att omfatta även metabola sjukdomar. Affärsmässigt innebär det att CombiGene utvecklar ett ytterligare projekt som har stor potential.*

Eftersom lipodystrofi är en mycket sällsynt sjukdom, man uppskattar att det finns ungefär 1000 patienter i EU och USA, finns det goda förutsättningar för CombiGenes kommande läkemedelskandidat att erhålla sär-läkemedelsstatus. Detta innebär övergripande att utvecklingskostnaderna blir lägre och tid till marknad blir kortare. Sär-läkemedel når också marknad i högre utsträckning än vanliga läkemedel. Det finns också en hög acceptans bland betalare att använda nya behandlingsmetoder för sällsynta sjukdomar och sjukdomar som idag saknar behandlingsalternativ, vilket är fallet med partiell lipodystrofi. Eftersom vården av lipodystrofi är koncentrerad till ett fåtal nationella centra i varje land, finns det också goda möjligheter för CombiGene att till en begränsad kostnad bedriva marknadsföring och försäljning i egen regi. Projektet befinner sig i ett tidigt utvecklingsstadium och initialt är målet att utveckla en generapibehandling för partiell lipodystrofi.

## Om lipodystrofi

Lipodystrofi är en sjukdom där fettfördelningen på kroppen är förändrad, vilket kan leda till en storvuxen kroppsform eller fettansamlingar vid hals, ansikte och bål medan armar och ben är smala. Centralt för sjukdomen är att levern lagrar upp fett, vilket leder till allvarliga komplikationer som svårbehandlad diabetes, akut bukspottkörtelinflammation, hjärt-kärlsjukdom och inflammation i levern. Patienterna drabbas också ofta av muskelsmärter och sammantaget leder detta till en kraftigt försämrad livskvalitet. Lipodystrofi är därmed ett stort medicinskt problem, men kan också vara socialt handikappande.

Det finns idag ett fåtal symptomlindrande behandlingar mot lipodystrofi, men ingen terapi som riktar sig mot grundorsaken till sjukdomen. För patienter som lider av partiell lipodystrofi finns det för närvarande inga behandlingar överhuvudtaget.

## Samarbetspartner Lipigon

Lipigon är en spin-off från Umeå Universitet. Företaget är grundat på 50 års forskning och utvecklar läkemedel för lipidrelaterade sjukdomar. Lipigons mål är att bygga ett hållbart forskningsfokuserat företag genom att utveckla sina program till betydande framsteg. Utöver avtalet med CombiGene omfattar Lipigons projektportfölj ett projekt för att behandla en form av höga blodfetter med hjälp av antisense-teknologi och ett projekt för att aktivera ett enzym som bryter ner fett. Det senare projektet baseras på en liten molekyl.

## Lipodystrofiprojektet – milstolpar

### 2019

- Inlicensiering av projektet från Lipigon



*Det stora intresset för genterapi från såväl internationella forskare som professionella investerare förklaras av de unika fördelar som genterapin erbjuder. För det första har genterapi potentialen att behandla sjukdomar som idag saknar adekvata behandlingsmetoder. För det andra kan genterapin genom ett eller ett fåtal behandlingstillfällen erbjuda långvarig, möjligen livslång effekt, vilket ska jämföras med traditionella läkemedel som ofta måste tas flera gånger om dagen livet ut.*

# Finansiell information

## Intäkter och resultat

Koncernen har omsatt 0 (8) TSEK under perioden januari-september. Övriga rörelseintäkter uppgår till 11 822 (2 179) TSEK varav 11 366 (2 129) TSEK avser intäktsfördel av erhållet bidrag från Horizon 2020. Rörelseresultatet för perioden uppgår till -8 864 (-10 092) TSEK. De huvudsakliga kostnaderna under perioden har hänfört sig till forskning & utveckling, arvoden till konsulter och personalkostnader.

## Kassaflöde och finansiell ställning

Kassaflödet för perioden januari-september uppgår till -28 020 TSEK. Likviditeten vid periodens utgång uppgår till 3 785 TSEK. Soliditeten uppgår till 84,48%.

## Likviditet och finansiering

Styrelsen bedömer att det kapital som tillfördes Bolaget vid den senaste genomförda företrädesemissionen i september 2018 samt de medel som Bolaget beviljats från EU programmet Horizon 2020 är tillräckligt för 2019. Det totala anslaget från Horizon 2020 uppgår till 3,36 miljoner euro varav 1,5 miljoner euro har utbetalats till Bolaget. Besked har getts om ytterligare utbetalning om 1,2 miljoner euro, vilket hänför sig till den första rapporteringsperioden augusti 2018 till juli 2019. Styrelsen och företagsledningen arbetar kontinuerligt med att säkerställa verksamhetens långsiktiga behov av finansiering. För att bland annat skapa förutsättningar att utan dröjsmål och med full kraft kunna påbörja lipodystrofi projektet som befinner sig i en uppstartsfas tog CombiGene den 11 november ett lån om 7 miljoner kronor. Långgivare är Modelio Equity AB och Munkeskullen 5 förvaltning AB.

## Aktien

Antalet aktier vid periodens utgång uppgick till 63 723 836 st med kvotvärde om 0,10 SEK. Periodens genomsnittliga antal aktier uppgår till 55 237 027. Samtliga aktier är av samma slag och har samma rösträtt.

## Personal

Antalet anställda i koncernen vid periodens utgång uppgick till 3 (2), av vilka 2 (2) är kvinnor. Därtill kom en administrativ resurs samt en Chief Financial Officer som var anlitate som 2 (1) konsulter varav 2 (1) var kvinnor.

## Risker och osäkerhetsfaktorer

Ett läkemedelsutvecklingsbolag av CombiGenes typ kännetecknas av en hög operationell och finansiell risk. Det finns många faktorer som negativt kan påverka sannolikheten för kommersiell framgång. De risker som i Bolagets nuvarande skede bedöms som viktigast att beakta är risken för att CombiGenes metod inte är säker eller inte är effektiv, samt risken för att verksamheten inte kan få erforderlig finansiering. Under innevarande period har inga väsentliga förändringar avseende dessa risk- eller osäkerhetsfaktorer inträffat.

## Principer för Delårsrapportens upprättande

CombiGene tillämpar årsredovisningslagen och Bokföringsnämndens allmänna råd BFNAR 2012:1 (K3) vid upprättandet av sina finansiella rapporter. Samma redovisningsprinciper har använts i denna delårsrapport som i den senaste årsredovisningen.

## Granskning av revisor

Denna rapport har inte varit föremål för granskning av bolagets revisor.

## Kommande finansiell rapport

Bokslutskommuniké januari – december 2019, den 13 februari 2020.

## För ytterligare information:

CombiGene AB (publ), Jan Nilsson, vd  
Tel: +46 (0) 46-275 60 10  
E-post: jan.nilsson@combigene.com

## Lund den 14 november 2019, CombiGene AB (publ)

Arne Ferstad  
Ordförande

Lars Thunberg  
Styrelseledamot

Susana Ayesa Alvarez  
Styrelseledamot

Hilde Furberg  
Styrelseledamot

Peter Nilsson  
Styrelseledamot

Jan Nilsson  
Verkställande direktör



## Koncernens resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019 juli-sep	2018 juli-sep	2019 jan-sep	2018 jan-sep	2018 jan-dec
Nettoomsättning	0	8	0	8	8
Övriga rörelseintäkter	7 050	2 129	11 822	2 179	3 728
<b>Rörelsens kostnader</b>					
Övriga externa kostnader	-8 430	-7 514	-15 585	-10 812	-15 052
Personalkostnader	-1 204	-556	-4 106	-1 467	-1 865
Övriga rörelsekostnader	-421		-421		
<b>Rörelseresultat före avskrivningar</b>	-3 005	-5 933	-8 290	-10 092	-13 181
Avskrivningar	-574	0	-574	0	0
<b>Rörelseresultat efter avskrivningar</b>	-3 579	-5 933	-8 864	-10 092	-13 181
Finansiellt netto	-28	105	-28	105	35
<b>Resultat efter finansiella poster</b>	-3 607	-5 828	-8 891	-9 987	-13 146
Skatter	0	0	0	0	0
<b>Periodens resultat</b>	-3 607	-5 828	-8 891	-9 987	-13 146
Varav hänförligt till					
Moderbolagets aktieägare	-3 440	-5 828	-8 724	-9 987	-13 146
Innehav utan bestämmande inflytandel	-167	0	-167	0	0
Resultat per aktie före utspädning	-0,05	-0,30	-0,14	-0,54	-0,25
Resultat per aktie efter utspädning	-0,05	-0,30	-0,14	-0,54	-0,25
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	62 405 319	19 490 869	55 237 027	18 578 891	26 889 024
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	62 405 319	19 490 869	55 237 027	18 578 891	26 889 024
Utestående antal aktier	63 723 836	51 593 476	63 723 836	51 593 476	51 593 476

## Koncernens balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019 30 sep	2018 30 sep	2018 31 dec
<b>TILLGÅNGAR</b>			
Immateriella anläggningstillgångar	24 029	1 558	1 654
<b>Summa anläggningstillgångar</b>	<b>24 029</b>	<b>1 558</b>	<b>1 654</b>
<b>Omsättningstillgångar</b>			
Övriga fordringar	5 113	33 420	1 657
Kassa och bank	3 785	16 569	31 805
<b>Summa omsättningstillgångar</b>	<b>8 898</b>	<b>49 989</b>	<b>33 462</b>
<b>Summa tillgångar</b>	<b>32 926</b>	<b>51 547</b>	<b>35 116</b>
<b>SKULDER OCH EGET KAPITAL</b>			
Aktiekapital	6 372	1 720	5 159
Ej registrerat aktiekapital		3 439	
Övrigt tillskjutet kapital	67 967	54 590	54 590
Annat eget kapital	-39 534	-26 148	-26 149
Årets resultat	-8 724	-9 987	-13 146
<b>Summa eget kapital hänförligt till moderbolaget aktieägare</b>	<b>26 081</b>	<b>23 614</b>	<b>20 455</b>
Minoritetsintresse	1 819		
<b>Summa eget kapital</b>	<b>27 900</b>	<b>23 614</b>	<b>20 455</b>
<b>Skulder</b>			
Kortfristiga skulder	5 027	27 933	14 661
<b>Summa skulder</b>	<b>5 027</b>	<b>27 933</b>	<b>14 661</b>
<b>Summa eget kapital och skulder</b>	<b>32 926</b>	<b>51 547</b>	<b>35 116</b>

## Rapport i sammandrag över koncernens förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktiekapital	Annat tillskjutet kapital	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Innehav utan bestämmande inflytande	Summa eget kapital
<b>Ingående balans vid årets början</b>	<b>5 159</b>	<b>54 590</b>	<b>-39 294</b>		<b>20 455</b>
Apportemission	1 213	13 377			14 590
Förvärv med innehav utan bestämmande inflytande				2 201	2 201
Förvärv från innehav utan bestämmande inflytande			-240	-215	-455
Periodens resultat			-8 724	-167	-8 891
<b>Belopp vid periodens utgång</b>	<b>6 372</b>	<b>67 967</b>	<b>-48 258</b>	<b>1 819</b>	<b>27 900</b>

## Koncernens kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2019	2018	2018
	Jan-sep	Jan-sep	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-26 044	9 955	228
Kassaflöde från investeringsverksamheten	-1 521	-334	-430
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	-455	2 030	27 089
<b>Periodens kassaflöde</b>	<b>-28 020</b>	<b>11 651</b>	<b>26 887</b>
Likvida medel vid periodens början	31 805	4 918	4 918
<b>Likvida medel vid periodens slut</b>	<b>3 785</b>	<b>16 569</b>	<b>31 805</b>



## Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019	2018	2019	2018	2018
	Juli-sep	Juli-sep	jan-sep	jan-sep	jan-dec
Nettoomsättning	0	8	0	8	8
Övriga rörelseintäkter	7 050	2 129	11 822	2 179	3 728
<b>Rörelsens kostnader</b>					
Övriga externa kostnader	-7 723	-7 502	-14 862	-10 812	-15 034
Personalkostnader	-1 102	-556	-4 004	-1 467	-1 864
Övriga rörelsekostnader	-421		-421		
<b>Rörelseresultat</b>	<b>-2 196</b>	<b>-5 921</b>	<b>-7 465</b>	<b>-10 092</b>	<b>-13 162</b>
Finansiellt netto	25	105	25	105	35
<b>Resultat efter finansiella poster</b>	<b>-2 171</b>	<b>-5 816</b>	<b>-7 440</b>	<b>-9 987</b>	<b>-13 127</b>
Skatter	0	0	0	0	0
<b>Periodens resultat</b>	<b>-2 171</b>	<b>-5 816</b>	<b>-7 440</b>	<b>-9 987</b>	<b>-13 127</b>

## Moderbolagets balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019 30 sep	2018 30 sep	2018 31 dec
<b>TILLGÅNGAR</b>			
Immateriella anläggningstillgångar	1 654	1 558	1 654
Finansiella anläggningstillgångar	22 304	166	167
<b>Summa anläggningstillgångar</b>	<b>23 958</b>	<b>1 724</b>	<b>1 821</b>
<b>Omsättningstillgångar</b>			
Övriga fordringar	4 946	33 432	1 674
Kassa och bank	3 598	16 388	31 625
<b>Summa omsättningstillgångar</b>	<b>8 543</b>	<b>49 820</b>	<b>33 299</b>
<b>Summa tillgångar</b>	<b>32 501</b>	<b>51 544</b>	<b>35 120</b>
<b>SKULDER OCH EGET KAPITAL</b>			
<b>Bundet eget kapital</b>			
Aktiekapital	6 372	1 720	5 159
Ej registrerat aktiekapital		3 439	
Reservfond	4	4	4
Fond för utvecklingskostnader	508	411	508
<b>Fritt eget kapital</b>			
Överkursfond	47 877	34 500	34 501
Balanserad förlust inklusive årets resultat	-27 137	-16 448	-19 697
<b>Summa eget kapital</b>	<b>27 623</b>	<b>23 626</b>	<b>20 474</b>
<b>Skulder</b>			
Kortfristiga skulder	4 878	27 918	14 646
<b>Summa skulder</b>	<b>4 878</b>	<b>27 918</b>	<b>14 646</b>
<b>Summa eget kapital och skulder</b>	<b>32 501</b>	<b>51 544</b>	<b>35 120</b>

## Rapport i sammandrag över moderbolagets förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktie- kapital	Reserv- fond	Fond för utveck- lings- utgifter	Överkurs- fond	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Summa eget kapital
<b>Ingående balans vid årets början</b>	<b>5 159</b>	<b>4</b>	<b>507</b>	<b>34 501</b>	<b>-19 697</b>	<b>20 474</b>
Avsättning till fond för utveck- lingsutgifter						
Apportemission	1 213			13 376		14 589
Periodens resultat					-7 440	-7 440
<b>Belopp vid periodens utgång</b>	<b>6 372</b>	<b>4</b>	<b>507</b>	<b>47 877</b>	<b>-27 137</b>	<b>27 623</b>

## Moderbolagets kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2019	2018	2018
	jan-sep	jan-sep	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-20 479	9 955	230
Kassaflöde från investeringsverksamheten	-7 548	-334	-431
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	0	2 030	27 089
<b>Periodens kassaflöde</b>	<b>-28 027</b>	<b>11 651</b>	<b>26 888</b>
Likvida medel vid periodens början	31 625	4 737	4 737
<b>Likvida medel vid periodens slut</b>	<b>3 598</b>	<b>16 388</b>	<b>31 625</b>



## Nyckeltal för koncernen

Belopp i TSEK	2019	2018	2018
	jan-sep	jan-sep	jan-dec
Resultat per aktie före utspädning, kr	-0,14	-0,54	-0,25
Resultat per aktie efter utspädning, kr	-0,14	-0,54	-0,25
Eget kapital per aktie, kr	0,41	0,46	0,39
Soliditet, %	84,48	48,81	58,27
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	55 237 027	18 578 891	26 889 024
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	55 237 027	18 579 891	26 889 024
Utestående antal aktier	63 723 836	51 593 476	51 593 476

## Aktiekapitalets utveckling

År	Händelse	Totalt aktie- kapital (kr)	Förändring (kr)	Antal aktier	Förändring aktier	Kvotvärde (kr)
1990	Nybildning	50 000	50 000	500	500	100,00
1997	Fondemission	100 000	50 000	1 000	500	100,00
2010	Nyemission	102 600	2 600	1 026	26	100,00
2013	Nyemission	143 600	41 000	1 436	410	100,00
2014	Fondemission	574 400	430 800	5 744	4 308	100,00
2014	Nyemission	604 400	30 000	6 044	300	100,00
2014	Split 1 000:1	604 400	0	6 044 000	6 037 956	0,10
2014	Nyemission	884 400	280 000	8 844 000	2 800 000	0,10
2015	Nyemission	1 134 400	250 000	11 344 000	2 500 000	0,10
2015	Nyemission	1 138 197	3 797	11 381 970	37 970	0,10
2016	Nyemission	1 180 159	41 962	11 801 590	419 620	0,10
2017	Nyemission	1 652 223	472 064	16 522 230	4 720 637	0,10
2018	Nyemission	1 719 783	67 560	17 197 836	675 596	0,10
2018	Nyemission	5 159 348	3 439 565	51 593 476	34 395 650	0,10
2019	Nyemission	6 372 384	1 213 036	63 723 836	12 130 360	0,10
<b>Vid periodens utgång</b>		<b>6 372 384</b>		<b>63 723 836</b>		<b>0,10</b>

# Ordlista

**Biodistributionsstudie.** Studie för att titta på hur ett läkemedel sprider sig i kroppen

**CDMO-bolag.** Kontraktstillverkare

**CG01.** CombiGenes epilepsiprojekt

**CNS.** Centrala nervsystemet

**CRO-bolag.** Bolag som specialiserat sig på att genomföra prekliniska och/eller kliniska studier

**Dos-responsstudie.** Studie som beskriver hur kroppen svarar på en viss koncentration av ett läkemedel

**Engineering Run.** Tillverkning där hela produktionsprocessen testas

**EU5.** Frankrike, Italien, Spanien, Storbritannien och Tyskland

**FDA.** Food and Drug Administration. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten

**Genterapi.** En behandlingsform av vissa sjukdomstillstånd som går ut på att införa en eller fler nya gener till cellerna i en organism

**GMP.** Good Manufacturing Practice (God tillverkningssed). Regelverk som styr tillverkning av läkemedel

**Horizon 2020.** EU:s ramprogram för forskning och utveckling

**Kardiovaskulära sjukdomar.** Sjukdomar som rör hjärta och kärl

**Klinisk studie.** Undersökning på friska eller sjuka människor för att studera effekten av ett läkemedel eller behandlingsmetod. Kliniska prövningar delas upp i olika faser. Dessa faser benämns Fas I, Fas II, Fas III och Fas IV

**Konceptverifieringsstudie.** Studie som visar på att konceptet med läkemedlet fungerar

**Lipodystrofi.** Sjukdom där fettfördelningen på kroppen är förändrad

**Läkemedelskandidat.** Ett ännu inte godkänt läkemedel som är under utveckling

**Läkemedelsresistens.** Nedsatt eller utebliven effekt av ett läkemedelspreparat på en organism, sjukdom eller vävnad

**Metabola sjukdomar.** Sjukdomar som orsakas av störning i ämnesomsättningen

**Onkologiska sjukdomar.** Cancersjukdomar

**Prekliniska studier.** Studier av ett läkemedel som genomförs innan studier i människa påbörjas

**Screeningstudie.** Tidiga studier då olika läkemedelskandidater jämförs mot varandra för att välja den som har bäst egenskaper

**Toxikologistudie.** Studie för att studera hur och vid vilka doser som ett läkemedel påverkar olika organ och delar av kroppen

# CombiGene – The gene therapy explorer

CombiGene är Nordens ledande genterapiföretag med ett projekt som går mot kliniska studier och ett projekt i tidig preklinisk fas. Genterapi har under de senaste åren haft en snabb utveckling med flera godkända terapier och ett antal stora företagsaffärer. Under samma period har vi byggt upp en unik kunskapsposition i Norden. Vårt kunnande spänner över genterapins alla centrala områden: virusvektorer, prekliniska studier inklusive biodistributions- och toxikologistudier, utveckling av GMP-klassade tillverkningsmetoder, uppskalning av produktionsvolymerna och regulatoriskt arbete.

Det finns idag få saker inom läkemedelsutvecklingen som är lika spännande och lika lovande som genterapi och CombiGene befinner sig på många sätt i utvecklingens framkant. Under arbetet med vårt epilepsiprojekt CGo1 har vi nästan dagligen dragit nya lärdomar, kommit till nya insikter och därmed expanderat vårt kunnande. Man skulle kunna säga att vi är på en expedition där vi utforskar genterapins fantastiska möjligheter. Vi fortsätter nu vår resa med ytterligare ett spännande projekt – lipodystrofiprojektet. Också här förväntar vi oss skapa ny och värdefull kunskap i takt med att vi utvecklar detta projekt vidare.

Så det är det vi är – utforskare – och det är därför vi valt att kalla oss the gene therapy explorer.



 **combiGene**

[www.combigene.com](http://www.combigene.com)

CombiGene AB (publ)  
Medicon Village, SE-223 81 Lund, Sweden  
[info@combigene.com](mailto:info@combigene.com)