

## PRESSMEDDELANDE

8 februari 2022

# CombiGenes och Neurochase prekliniska studie ger värdefull information inför de kommande långtidsstudierna inom toxikologi och biodistribution

**STOCKHOLM — Den 28 juni 2021 meddelade CombiGene ("CombiGene", "Bolaget") att Bolaget tillsammans med sin partner Neurochase inlett arbetet att optimera administrationen av CG01 i en preklinisk pilotstudie i stordjur. CombiGene kan idag meddela att den praktiska delen av studien nu är slutförd.**

I studien har administrationen av CG01 utvärderats vad gäller bland annat injektionsvolym och injektionshastighet. Studien ger värdefull information om Neurochase injektionsinstrument inför de kommande långtidsstudierna inom toxikologi och biodistribution i stordjur.

"CombiGene fortsätter att bryta ny mark inom ramen för CG01-projektet", säger Pernilla Fagergren, Project Manager på CombiGene. "Ingen har tidigare utvecklat en genterapi för behandling av läkemedelsresistent fokal epilepsi. Vi har nu fått ny kunskap som är värdefull inför de kommande långtidsstudierna inom toxikologi och biodistribution i stordjur."

Sedan CombiGene och Spark Therapeutics i oktober 2021 ingick ett exklusivt samarbets- och licensavtal för CG01 har de två bolagen gemensamt sett över projektets framtida utveckling med ambitionen att etablera den bästa vägen framåt.

Det viktigaste resultatet av denna översyn är beslutet att utöka det kliniska utvecklingsprogrammet till att omfatta kliniker i USA såväl som i Europa. USA är världens största läkemedelsmarknad och att etablera en klinisk närvaro på denna marknad stärker på ett betydande sätt CG01-projektet ytterligare.

För att förbereda CG01 för att möta behoven av en utökad ansökan som även omfattar USA kommer det återstående prekliniska programmet att expanderas och i vissa delar kompletteras med ytterligare studier. I praktiken innebär detta att den prekliniska delen av CG01-utvecklingen kommer att ta ytterligare tid i anspråk.

Under den återstående delen av det prekliniska programmet kommer alla CG01-relaterade R&D-aktiviteter som CombiGene utför, såväl interna som externa, att avtalas och godkännas av Spark, som också står för samtliga avtalade kostnader. När CG01 går in i den kliniska fasen kommer Spark att ta över ansvaret att driva projektet vidare och därmed också stå för samtliga kostnader under denna utvecklingsfas.

## Om CG01

CG01 är en unik genterapikandidat som riktar sig till en stor patientpopulation för att lösa ett globalt behov av epilepsibehandling. Epilepsi är ett stort globalt medicinskt problem där cirka 47 000 läkemedelsresistenta patienter med fokal epilepsi beräknas tillkomma varje år i USA, EU4, Storbritannien, Japan och Kina. CG01 är i sent prekliniskt skede. Produktionsplattformen, som utvecklats gemensamt av CombiGene och dess partners Cobra Biologics och Viralgen, är skalbar och utformad för att tillhandahålla material för prekliniska och kliniska studier och framtida kommersiell produktion. CombiGene har tecknat ett exklusivt samarbets- och licensavtal för CombiGenes CG01-projekt med Spark Therapeutics.

## Horizon 2020



CombiGenes huvudprojekt CG01 har fått finansiering från Europeiska unionens forsknings- och innovationsprogram Horizon 2020 enligt bidragsavtal nr 823282.

## Om Spark Therapeutics

Spark Therapeutics – ett helt integrerat, kommersiellt företag som arbetar med att upptäcka, utveckla och leverera genterapier – utmanar genetiska sjukdomarnas oundviklighet, inklusive blindhet, hemofili, lysosomala lagringsstörningar och neurodegenerativa sjukdomar. Spark har för närvarande fyra program i kliniska prövningar. Spark, som ingår i Roche-koncernen, ser vägen till en värld där inget liv begränsas av genetisk sjukdom. För mer information, besök [www.sparktx.com](http://www.sparktx.com), och följ bolaget på Twitter och LinkedIn.

## Om Neurochase

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

Neurochase, som grundats av professor Steven Gill, har som mål att tillgängliggöra banbrytande riktade terapier för patienter med neurologiska sjukdomar med hjälp av spjutspetsteknologi. Neurochase team är specialiserat på att skapa skraddarsydda terapeutiska strategier för direkt administration av läkemedel med hjälp av så kallad "Convection Enhanced Delivery" (CED). Bolaget tillhandahåller korrekt, målinriktad och säker direkt administration av läkemedel till det centrala nervsystemet och utvecklar globalt skalbara behandlingsstrategier och lösningar för läkemedels- och biotechindustrin.

## Om CombiGene AB

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 har ett exklusivt samarbets- och licensavtal med Spark Therapeutics för CG01-projektet.

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

## För mer information:

*CombiGene AB (publ)*

Jan Nilsson, VD

Tel: +46 (0)704 66 31 63

[jan.nilsson@combigene.com](mailto:jan.nilsson@combigene.com)

Bert Junno, styrelseordförande

Tel: +46(0) 70 7 77 22 09

[bert.junno@combigene.com](mailto:bert.junno@combigene.com)

Läs "Genevägen", ett nyhetsbrev från CombiGene som innehåller allmänna nyheter och information som bedöms inte ha någon inverkan på aktiekursen. "Genevägen" och pressmeddelanden finns tillgängliga på [www.combigene.com](http://www.combigene.com)