

PRESSMEDDELANDE

17 januari 2022

GMP-produktion av CG01 tillgänglig för de prekliniska studier som är planerade för att möjliggöra första studien i människa

STOCKHOLM — CombiGene AB ('CombiGene') och Spark Therapeutics, som ingår i Roche-koncernen (SIX: RO, ROG; OTCQX: RHHBY) och som är ett helt integrerat, kommersiellt genterapiföretag som arbetar för att utmana den genetiska sjukdomens oundviklighet, meddelade idag tillsammans med sin gemensamma CDMO-partner Viralgen – en ledande AAV-genterapitillverkare – att GMP-produktionen av CG01 har gjorts tillgänglig för de avslutande prekliniska studierna som planeras för att möjliggöra den första studien i människa.

Detta är den första storskaliga GMP-produktionen av CG01. Både produktionen och testerna utfördes enligt plan. Resultaten från produktionen och analyserna kommer att utgöra en central del av framtida regulatoriska ansökningar om att ta projektet vidare till kliniska studier.

”Att GMP-produktionen av CG01 nu är tillgänglig är ännu en viktig och värdeskapande milstolpe för CombiGene. I samarbete med Spark genomför vi nu de sista delarna av det prekliniska programmet där CombiGene kommer att ersättas för överenskomna interna och externa FoU-kostnader. När det prekliniska programmet är klart kommer Spark att ta full kontroll över projektets kliniska program och framtida global kommersialisering. Det är med stor tillfredsställelse som vi har slutfört GMP-produktionen,” säger Jan Nilsson, vd för CombiGene.

Viralgens VD, Javier García, säger ”På Viralgen är vi glada över att spela en viktig roll i den fortsatta utvecklingen av CG01. Att framgångsrikt och enligt tidsplan testa detta material är en viktig milstolpe för att nå patienter och för att stödja både CombiGene och Spark i att göra skillnad i behandling av epilepsi. Vi är glada att vår tillverkningsplattform effektivt kunde producera detta material i större skala som förväntat.”

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 och produktionsplattformen, som utvecklats gemensamt av CombiGene och dess partners Cobra Biologics och Viralgen, uppfyller alla kvalitetskrav och är skalbar för att möta alla framtida behov, från begränsade volymer för prekliniska och kliniska prövningar till full kommersiell produktion.

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, och följ bolaget på Twitter och LinkedIn.



Om Viralgen

www.viralgenvc.com

Viralgen är ett joint venture mellan Askbio och Columbus Venture Partners med flera decenniers erfarenhet av teknologi- och läkemedelsutveckling i en rad olika plattformar för att stödja best-in-class erbjudanden till genterapimarknaden.

Viralgen etablerades 2017 för att möta det växande behovet av tillverkning av genterapeutiska läkemedel med målet att bidra till att bredda tillgången till dessa livräddande terapier och bidra till att främja hälsa och välfärd världen över. Bolaget är specialiserat på produktion av AAV-viralvektorer och har byggt en optimerad anläggning i San Sebastian, Spanien som maximerar genomströmning och effektivitet i den egenutvecklade tillverkningsplattformen för Pro10™-suspension, vilken möjliggör världsledande skalbarhet, reproducerbarhet och tid till marknad.

Bolagets plattformsbaserade process gör det möjligt för kunder att nå branschledande koncentrationer och ta cGMP-certifierade AAV-serotyper till klinik och marknad med realistiska kostnader och med patienten i åtanke. Viralgen strävar efter att leverera den bästa vektorn, i rätt skala, vid rätt tidpunkt under AAV-produktens hela livscykel.

Viralgens nya kommersiella anläggning togs i drift i slutet av 2021 i San Sebastian i Spanien.

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.

För mer information:

CombiGene AB (publ)

Jan Nilsson, VD

Tel: +46 (0)704 66 31 63

jan.nilsson@combigene.com

Bert Junno, styrelseordförande

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

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