

PRESSMEDDELANDE

28 juni 2021

CombiGene och Neurochase inleder arbetet att optimera administrationen av CG01

CombiGenes epilepsiprojekt CG01 fortsätter att avancera mot den första kliniska studien som är planerad att inledas under 2022. Ett viktigt steg på vägen till kliniska studier är optimeringen av själva administrationen av CG01. CombiGene har nu påbörjat detta arbete i en preklinisk studie i stordjur som genomförs i samarbete med det brittiska bolaget Neurochase.

Neurochase och dess grundare neurokirurgen professor Steven Gill är specialiserade på att administrera läkemedel till olika delar i det centrala nervsystemet och har stor erfarenhet av att administrera just den typ av genterapivektorer som används i CG01.

I studien kommer administrationen följas genom så kallad Realtidsavbildning, vilket innebär att man kontinuerligt följer hur den injicerade substansen sprids i hjärnan. På detta sätt kan man i realtid se att genterapivektorerna når avsedd del av hjärnan. Studien omfattar även analyser av själva proteinuttrycket i hjärnan för att säkerställa att uttrycket av proteinerna följer samma mönster som den administrerade substansen. Studien kommer att genomföras i två steg. I det första steget utvärderas själva administrationstekniken med en genterapivektor som uttrycker ett fluorescerande protein tillsammans med en kontrastvätska som gör det möjligt att följa injektionsförloppet hela vägen fram till målområdet samt se var proteinerna uttrycks. I det andra steget upprepas förloppet med CG01 för att bekräfta att administrationen även ger det avsedda uttrycket av de verksamma substanserna NPY och Y2.

Resultaten från studien beräknas vara klara under sensommaren 2021 och ett positivt utfall innebär att långtidsstudierna inom toxicologi och biodistribution i stordjur kan inledas som planerat.

Om CG01

Till skillnad från många genterapier, som utvecklas för behandling av sällsynta sjukdomar, vänder sig CG01 till en stor population patienter. Epilepsi är ett stort globalt problem. Varje år beräknas cirka 47 000 läkemedelsresistenta patienter med fokal epilepsi tillkomma i USA, EU4 + UK, Japan och Kina. CombiGene gör bedömningen att det är realistiskt att 10–20 procent av dessa patienter skulle kunna behandlas med läkemedelskandidaten CG01. Om man för exemplens skull antar att terapikostnaden per patient ligger någonstans mellan 134 000 USD och 200 000 USD (vilket jämfört med godkända genterapiläkemedel är lågt), ger det en försäljning mellan 750 – 1 500 miljoner USD årligen.

Horizon 2020



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

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 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.

Om Neurochase

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 spjutspets-teknologi. Neurochase team är specialiserat på att skapa skräddarsydda 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.

För ytterligare 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 även *Genevägen*, ett nyhetsbrev från CombiGene som innehåller allmänna nyheter och information som inte bedöms som kurspåverkande. *Genevägen* och *Pressmeddelande* finns på www.combigene.com