

Första in vivo-studien – ny milstolpe i CombiGenes lipodystrofi projekt CGT2

CombiGenes lipodystrofi projekt CGT2 befinner sig i en spännande fas där olika läkemedelskandidater utvärderas med målet att under 2021 välja slutgiltig kandidat för fortsatta prekliniska studier. En första selektion av läkemedelskandidaterna har gjorts i in vitro-försök med leverceller och CombiGene inleder nu nästa steg i gallringsprocessen genom att inleda in vivo-studier för att utvärdera vilket proteinuttryck som kan uppnås i experimentella modeller.

Den första av två in vivo-studier som nu genomförs syftar till att mäta nivån på proteinuttrycket från de olika läkemedelskandidaterna samt i vilka organ det uttrycks. Den andra in vivo-studien görs för att mäta vilken effekt de olika kandidaterna har på fettlever, som är det tillstånd som CGT2-projektet primärt avser att behandla i partiell lipodystrofi.



“Att vi nu inleder in vivo-studier för att identifiera vår slutgiltiga läkemedelskandidat utgör ett mycket viktigt steg i den prekliniska utvecklingen. Målet med studierna är att identifiera en eller två läkemedelskandidater med hög potential för att under första halvåret 2021 inleda

konceptverifieringsstudier”, säger Annika Ericsson Senior Project Manager på CombiGene.

Om lipodystrofi projektet CGT2

CGT2-projektet syftar till att utveckla en genterapeutisk behandling av partiell lipodystrofi. Projektet inlicensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB 2019 och befinner sig i tidig preklinisk utveckling med fokus på design och test av genterapivektorer.

Lipodystrofi är en sällsynt sjukdom som kännetecknas av förändrad fettfördelning på kroppen. Patienterna drabbas av kroppsfettsatrofi, vilket innebär att kroppsfettet förtvinar. I avsaknad av normalt kroppsfett börjar olika organ ackumulera fett, vilket leder vidare till allvarliga metabola komplikationer, bland annat extrem insulinresistens, hypertriglyceridemi (förhöjda värden av blodfettet triglycerid) och leversteatos (fettlever).

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.

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 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

Bert Junno, styrelseordförande
Tel: +46(0) 70 777 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 **PRESSMEDDELANDEN** finns på www.combigene.com