

THE GENE THERAPY EXPLORER

"Det nu avslutade 2020 var ett mycket bra år för CombiGene med betydande framsteg i våra projekt. Året var också framgångsrikt vad gäller finansieringen av bolaget med tre nyemissioner och totalt tre serier teckningsoptioner. Sammantaget har emissionerna och teckningsoptionerna tillfört bolaget cirka 89 miljoner kronor före emissionskostnader. Under året intensifierade vi också kommunikationen med aktiemarknaden genom en rad olika aktiviteter. När jag nu summerar 2020 känner jag stor stolthet inför vad vi åstadkommit så här långt och stor entusiasm och energi inför 2021 som kommer att bli precis lika intensivt som 2020."

- Jan Nilsson, VD

Bokslutskommuniké

Januari – december 2020 för CombiGene AB (publ)

Bokslutskommuniké januari – december 2020 för CombiGene AB (publ)

Perioden oktober - december 2020

- Nettoomsättning: 0 (0) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 3 171 (3 908) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -10 964 (-9 037) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,05 (-0,14) SEK.

Perioden januari - december 2020

- Nettoomsättning: 0 (0) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 12 029 (15 730) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -29 551 (-17 929) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,13 (-0,28) SEK.
- Likviditet vid periodens utgång: 48 895 (15 166) TSEK.
- Soliditet vid periodens utgång: 90 (46) %.

Kvartal fyra

- Louise Aspenberg tillträder som ny Chief Financial Officer (CFO). Louise Aspenberg ingår i CombiGenes ledningsgrupp och rapporterar till vd Jan Nilsson. Louise Aspenberg efterträder Anna Jönsson som lämnar företaget på egen begäran.
- CombiGenes lipodystrofi projekt CGT2 genomför en första selektion av läkemedelskandidater i in vitro-försök med leverceller.
- Horizon 2020 gör en tredje utbetalningen om 130 000 EUR till CombiGenes epilepsiprojekt CGO1. CombiGene har därmed erhållit 85 procent av det totala anslaget om 3,36 miljoner EUR.
- CombiGene tecknar avtal med brittiska Neurochase om optimerad dosering och injektion av CGO1 inför de kliniska studierna.
- CombiGene har tillsammans med genterapitillverkaren Viralgen framgångsrikt slutfört den första storskaliga produktionen av CGO1.
- CombiGenes teckningsoptioner av serie TO4 och TO5 utnyttjade till 98,4 procent.
- Rekrytering av Martin Linhult till positionen som Project Manager CMC.

Händelser efter det fjärde kvartalets utgång

- Rekrytering av Pernilla Fagergren till positionen som Clinical Project Manager.

Kvartal tre

- Slutförd tropismstudie som visar att CGO1 enbart tas upp av nervcellerna i hippocampus och inte av gliacellerna (en sorts stödceller i hjärnan).
- CombiGenes produktionspartner Cobra Biologics (Cobra) slutför produktion och leverans av de två återstående DNA-plasmiderna och tar fram tre mastercellbanker med GMP-standard.
- CombiGene och Cobra tecknar avtal som säkrar GMP-produktion av plasmider som ingår i tillverkningen av CGO1.
- Arbetet att utveckla de kritiska analyser som behövs för kvalitetskontroll vid tillverkning av den AAV-baserade genterapi produkten CGO1 slutförd i samarbete mellan CombiGene och partnern Cell and Gene Therapy Catapult (CGT Catapult).
- Efter en framgångsrik pilotproduktion av CGO1 hos Viralgen tecknar CombiGene och Viralgen avtal om produktion av CGO1.
- CombiGenes samarbetspartner Viralgen påbörjar den första storskaliga produktionen av CGO1.
- En prioritetsgrundande patentansökan lämnas in till Storbritanniens patentverk om patentskydd för de vektorer som utvecklas inom CombiGenes lipodystrofi projekt CGT2.
- Den 4 augusti 2020 beslutade styrelsen att genomföra en riktad nyemission av 21 588 125 units, vardera unit bestående av en aktie och en teckningsoption av serie TO5 till det holländska investmentföretaget NYIP, Nyenburgh Holding BV, en ledande holländsk life-science investerare.
- Den 16 september genomförde CombiGene en riktad nyemission med stöd av årsstämman bemyndigande en riktad nyemission av 1 561 365 aktier till Lipigon Pharmaceuticals AB ("Lipigon") med anledning av det licensavtal som sedan tidigare ingåtts mellan CombiGene och Lipigon



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

Kvartal två

- Cobra Biologics uppnår en viktig milstolpe i CombiGenes epilepsiprojekt CG01 genom leverans av den första DNA-plasmiden som behövs för att producera CG01.
- CombiGene slutför den företrädesemission av aktier och teckningsoptioner, s.k. units, som beslutades av styrelsen den 18 februari 2020. Företrädesemissionen tecknades med ett belopp om 26,28 MSEK före emissionskostnader.
- CombiGene genomför en riktad emission av units bestående av aktier och teckningsoptioner om totalt 4 MSEK till Modelio Equity AB (publ) ("Modelio") samt Oscar Molse enligt i huvudsak samma villkor som CombiGenes i april avslutade företrädesemission.
- Den 29 juni 2020 höll CombiGene AB årsstämma i Lund. Årsstämman beslutade i samtliga föreslagna ärenden i enlighet med styrelsens eller valberedningens förslag. Till nya styrelseledamöter valdes Bert Junno, Jan Nilsson, Jonas Ekblom och Per Lundin. Peter Nilsson omvaldes till styrelseledamot. Bert Junno valdes till ny styrelseordförande. För ytterligare information, se bolagets hemsida: combigene.com.

Kvartal ett

- Styrelsen i CombiGene AB beslutar att genomföra en nyemission av aktier med företrädesrätt för Bolagets befintliga aktieägare med ett belopp om högst 32,5 MSEK. Nyemissionen görs i enlighet med det bemyndigande till styrelsen som lämnades av årsstämman i CombiGene den 16 maj 2019.
- CombiGene avslutar den prekliniska farmakokinetikstudien i CG01-projektet. Utfallet från studien är mycket lovande och bekräftar att CG01 skapar ett långvarigt uttryck av NPY och Y2.
- CombiGene avslutar en preklinisk inlärnings- och minnesstudie inom CG01-projektet. Utfallet från studien är mycket tillfredsställande och visar att NPY och Y2, de verksamma substanserna i CG01, inte har någon signifikant negativ påverkan på kognitiva funktioner.

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

Bert Junno, styrelseordförande
Tel: +46(0) 707 77 22 09
bert.junno@combigene.com

www.combigene.com

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



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

VD-ord

Det nu avslutade 2020 var ett mycket bra år för CombiGene med betydande framsteg i våra projekt. Året var också framgångsrikt vad gäller finansieringen av bolaget med tre nyemissioner och totalt tre serier teckningsoptioner. Sammantaget har emissionerna och teckningsoptionerna tillfört bolaget cirka 89 miljoner kronor före emissionskostnader. Under året intensifierade vi också kommunikationen med aktiemarknaden genom en rad olika aktiviteter. När jag nu summerar 2020 känner jag stor stolthet inför vad vi åstadkommit så här långt och stor entusiasm och energi inför 2021 som kommer att bli precis lika intensivt som 2020.

CG01 flyttar fram positionerna Etablering av produktionsplattform.

I vårt epilepsiprojekt CG01 etablerade vi under året en framtidssäkrad produktionsplattform som kommer att förse oss med material både för våra avslutande prekliniska studier och GMP-material för kommande studier i människa. Med den produktionsmetod vi valt kan vi också snabbt skala upp produktionsvolymerna för att möta en framtida kommersiell efterfrågan. Att etablera en produktion av detta slag är ett komplext och tidskrävande arbete som involverar flera olika aktörer. Att CombiGene som ett litet biotechbolag framgångsrikt kunnat etablerat denna produktionsplattform är ett tydligt bevis på den kompetens som finns i bolaget. Det visar också att vi är en attraktiv kund för några av de viktigaste aktörerna på marknaden för produktion av nya och revolutionerande genoterapier.

Positiva studieresultat. Under året genomförde vi tre prekliniska studier med resultat som styrker vår arbetshypotes rörande vår läkemedelskandidat CG01. Vår celltropismstudie visade att CG01 enbart tas upp av nervcellerna i hippocampus och inte av stödjecellerna, de så kallade gliacellerna. Under året genomförde vi också en inlärnings- och minnesstudie med mycket tillfredsställande resultat: CG01 visar i studien ingen negativ påverkan på inläring och minne. Årets tredje studie, en farmakokinetikstudie, visar att förekomsten av neuropeptid Y (NPY) och dess receptor Y2 – de två aktiva substanserna som är kodade i CG01 – kvarstår under lång tid, vilket ger ytterligare evidens att en injektion i mänsklig hjärna bör ha effekt under många år.

All denna kunskap verifierar vår förståelse av hur CG01 fungerar och ger positiva svar på frågor som myndigheterna ställt till oss.

Tydligt fokus för 2021. Under 2021 kommer vi att ha ett tydligt fokus på de avslutande delarna i CG01:s prekliniska program, inte minst de viktiga

biodistributions- och säkerhetsstudierna. Parallellt med det avslutande prekliniska arbetet kommer vi också genomföra en rad förberedelser inför den första kliniska studien i människa.

Så snart det prekliniska programmet är slutfört med godkänd säkerhetsprofil avser vi att ansöka om tillstånd att inleda den första studien i människa – en av projektets viktigaste milstolpar. Ambitionen är att påbörja det kliniska programmet under 2022.

Lipodystrofi projektet på väg mot viktig konceptverifieringsstudie

Även vårt lipodystrofi projekt CGT2 har utvecklats väl under året. Vi har ansökt om patentskydd för de vektorer som utvecklas inom projektet, vilket bereder väg för ett globalt patentskydd. Detta kommer att vara viktigt under den fortsatta utvecklingen och kommersialiseringen av projektet. Under avslutningen av året inledde vi arbetet med att identifiera den mest lovande läkemedelskandidaten och planerar att under 2021 genomföra den viktiga konceptverifieringsstudien.

Finansiering av CombiGene

Tre emissioner. För ett ungt biotech bolag som CombiGene är finansieringsfrågan ständigt aktuell och något som bolagsledning och styrelse arbetar med kontinuerligt. Under 2020 har vi genomfört tre emissioner, en företrädesemission och två riktade emissioner. Kopplat till dessa fanns även tre serier teckningsoptioner, där TO3 och TO4 ingick i företrädesemissionen och i den riktade emissionen i april medan TO5 ingick i den riktade emissionen i augusti. Motivet för emissionerna var självfallet att skapa resurser för att driva våra projekt vidare med full kraft. Företrädesemissionen tecknades till 80 procent och tillsammans med den riktade emissionen i april tillfördes bolaget ca 30 miljoner kronor före emissionskostnader. Den riktade emissionen till NYIP ("Nyenburgh Holding BV") i



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

augusti tillförde CombiGene ytterligare 15,5 miljoner kronor före emissionskostnader. Ett mycket högt deltagande i såväl TO3 som TO4 och TO5 (över 97 procent) innebar att CombiGene tillfördes ytterligare cirka 43,2 miljoner kronor före emissionskostnader.

En tredje utbetalning från Horizon 2020. I maj 2018 meddelade CombiGene att Horizon 2020 – EU:s ramprogram för forskning och utveckling – satsar 3,36 miljoner EUR på CombiGenes genterapiprojekt CG01. Med den tredje utbetalningen från Horizon 2020 som betalades ut under hösten 2020 har EU-programmet hitintills satsat 2,85 miljoner EUR på CG01-projektet. Utbetalningen från Horizon 2020 är ytterligare en bekräftelse på de framsteg som gjorts inom CG01-projektet, inte minst det arbete vi genomfört för att utveckla en kommersiellt användbar och framtidssäkrad produktionsmetod.

Intensifierad kommunikation med aktiemarknaden

Under 2020 har vi ytterligare intensifierat vår kommunikation med aktiemarknaden för att öka förståelsen för bolagets möjligheter och därmed öka intresset att investera i utvecklingen av våra mycket lovande projekt. Under året har vi bland annat deltagit i en rad aktiemarknadsevent och vetenskapliga konferenser. Vi har också synts med ett flertal artiklar i BioStock och var särskilt utvalda för en stor artikel i Sveriges nya finansstidning Dagens Börs. CombiGenes forskning uppmärksammades också under året genom en artikel i Frontiers in Molecular Neuroscience författad av docent David Woldbye, en av våra vetenskapliga grundare.

Begränsade effekter av covid-19-pandemin

De omedelbara effekterna av covid-19-pandemin på CombiGenes verksamhet har varit begränsade. Vi har under året fortsatt vårt arbete som tidigare, men utnyttjat den digitala tekniken för att minimera antalet sociala kontakter. Vi räknar i dagsläget inte med några materiella förseningar i något av våra projekt på grund av den pågående pandemin.

CombiGene stärker organisationen

Under hösten har bolaget bytt ekonomichef, CFO; Louise Aspenberg tillträdde som ny ekonomichef i oktober 2020 eftersom Anna Jönsson lämnade bolaget för andra utmaningar. Louise har tidigare haft motsvarande befattning på andra noterade bolag.



Under 2021 går vi in i ett ännu intensivare utvecklingskede i epilepsiprojektet CG01. Vi har därför stärkt organisationen med ytterligare spetskompetens inom läkemedelstillverkning och inom klinisk projektledning.

Jag är mycket glad att vi framgångsrikt och på ett så betydande sätt lyckats stärka bolagets interna resurser och kompetens.

Utsikter

Om vi ser på våra två projekt i ett lite längre perspektiv blir bilden ännu mer intressant. Epilepsiprojektet CG01 har potentialen att behandla upp till 10 000 patienter om året, vilket gör att vi uppskattar det årliga värdet av denna marknad till upp till 1 500 miljoner USD. Vårt CGT2-projekt utvecklas för behandling av den sällsynta sjukdomen lipodystrofi. Vår bedömning är att detta projekt har goda förutsättningar att i ett senare skede erhålla sällsynt läkemedelsstatus, vilket innebär stora fördelar vad gäller tid och kostnad under utvecklingstiden och ofta också en attraktiv prissättning när läkemedlet blivit godkänt.

Framtiden för CombiGene blir med andra ord allt mer spännande ju längre våra projekt avancerar.

Avslutningsvis vill jag tacka alla aktieägare som under året investerat i CombiGene. Ett stöd och förtroende är en ovärderlig förutsättning för att vi ska kunna fortsätta att utveckla bolaget i den takt och riktning vi önskar.

Jan Nilsson
vd



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

Den globala marknaden för läkemedelskandidaten CG01 uppskattas till 750 – 1 500 miljoner USD årligen

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, EU4 + UK 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 denna grupp av epileptiker som CombiGene avser att hjälpa med sin läkemedelskandidat CG01.

Enorm potential för CombiGene

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 bolagets läkemedelskandidat CG01. Om man för exemplets 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.

Några ord från vår forsknings- och utvecklingschef

Under 2020 har vi positionerat CG01 för de avslutande prekliniska studierna och planerar att inleda det kliniska utvecklingsprogrammet under 2022

CombiGenes epilepsiprojekt CG01 har avancerat långt och i högt tempo under det gångna året. Sedan inledningen av 2020 har vi etablerat en framtidssäkrad produktionsplattform, genomfört tre prekliniska studier med positiva resultat och tecknat avtal om utvecklingen av en optimerad läkemedelsadministration av denna unika genterapi. CG01 är därmed väl positionerat för de avslutande prekliniska studierna. Vi har också påbörjat förberedelserna för det kliniska programmet med ambitionen att inleda den första studien i människa under 2022. Istället för att ge en kort översikt av det senaste kvartalet som jag traditionellt gör, vill jag utnyttja detta tillfälle att ge en samlad överblick över årets framsteg i CG01-projektet.



Karin Agerman
Chief Research and Development Officer

Utveckling av produktionsplattform

Det mest betydelsefulla framsteget under 2020 är tveklöst utvecklingen av vår produktionsplattform som etablerades under året. Vi har nu en produktionsprocess med kapacitet att leverera material inte bara till våra avslutande prekliniska studier och det kommande kliniska programmet, produktionen kan också enkelt skalas upp för att möta en framtida kommersiell efterfrågan. Med tanke på att produktion och produktionskapacitet utgör betydande utmaningar i alla genterapiprojekt är det



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

mycket tillfredsställande att vi nu efter ett mycket intensivt arbete har alla delar av produktionsprocessen på plats. Produktionsprocessen kan delas in i tre huvudsakliga delar: startmaterial, kvalitetssäkring och tillverkning.

Vi beslutade oss under året för att använda en suspensionsbaserad produktionsmetod som kan möta framtida kommersiella krav på stora volymer. Under inledningen av september 2020 tecknade vi avtal om produktion av CG01 med den spanska tillverkaren Viralgen och knappt en månad senare påbörjades produktion av den första batchen av CG01. Analysen av materialet från denna första tillverkning pågår för att säkerställa att det möter alla de högt ställda kvalitetskraven. Så snart analyserna är klara, med ett godkänt resultat, kan det producerade materialet användas i de prekliniska studier som är planerade att genomföras under 2021.

Mastercellbanker säkrar kvaliteten på plasmider

Startmaterialet för produktion av CG01 utgörs av tre olika plasmider (cirkulära DNA-molekyler) varav en plasmid är bärare av DNA som kodar för CG01:s aktiva substanser neuropeptid Y och dess receptor Y2. Tillsammans med Cobra Biologics har vi producerat så kallade mastercellbanker som säkerställer att kvaliteten på plasmiderna är exakt den samma vid varje produktionstillfälle. Mastercellbankerna är därmed en grundpelare i kvalitetssäkringen av CG01.

Analysmetoder integrerade i tillverkningsprocessen

Nästa steg i arbetet med att kvalitetssäkra produktionen av CG01 är att integrera de generella och specifika analysmetoderna i produktionsprocessen. De generella analyserna är gemensamma för all AAV-baserad genterapi medan de specifika analyserna är särskilt utvecklade för CG01. Under 2019 - 2020 har CombiGene tillsammans med den brittiska organisationen CGT Catapult utvecklat sju olika analyser för produktionen av CG01.

Positiva resultat från årets prekliniska studier

Samtliga prekliniska studier som genomfördes under året gav oss resultat som verifierade vår förståelse för hur CG01 fungerar inom flera viktiga områden.

Tropismstudien. Hjärnan är uppbyggd av nervceller och en sorts stödjeceller, så kallade gliaceller. En unik egenskap hos virus och därmed också virusvektorer är att de har så kallad tropism, vilket innebär att de selektivt infekterar vissa typer av celler.

Den tropismstudie som vi genomförde under året visar att CG01 enbart tas upp av nervcellerna i hippocampus och inte av gliacellerna. Denna kunskap verifierar vår förståelse av hur CG01 fungerar och ger också positiva svar på frågor som myndigheterna ställt till oss.

Inlärnings- och minnesstudie. Under året genomförde vi också en inlärnings- och minnesstudie. Utfallet från studien är mycket tillfredsställande i och med att det visar att de verksamma substanserna kodade i CG01 inte har någon signifikant negativ påverkan på kognitiva funktioner. Neuropeptid Y, en av de substanser som är kodad i CG01, är associerad med ett flertal fysiologiska processer i kroppen, bland annat minne och inlärningsförmåga. CombiGene hade därför fått frågan från FDA och svenska Läkemiddelverket om CG01 har någon påverkan på kognitiva funktioner. Inlärnings- och minnesstudien visar att ett ökat uttryck av de aktiva substanserna i CG01 inte har en negativ påverkan på minne eller inläring i den experimentella modell som användes i studien.

Farmakokinetikstudien. Årets kanske viktigaste studie var vår farmakokinetikstudie. Denna studie visar tydligt att uttrycket (förekomsten) av neuropeptid Y (NPY) och dess receptor Y2 ökar markant redan en vecka efter injicering av CG01 för att sedan stegras under de kommande två veckorna och nå en plattå efter tre veckor. Det är särskilt glädjande att kunna konstatera att nivån som uppnåddes efter tre veckor var stabil under studiens hela längd, dvs sex månader. Det ger oss ytterligare evidens att en injektion med CG01 bör ha effekt under många år i människa. En tumregel är att sex månader i den experimentella modell vi använde i denna studie kan motsvara 15 år i människa. Resultaten är med andra ord oerhört uppmuntrande.

Optimering av dosering och injektion

Under årets avslutande kvartal tecknade vi avtal med brittiska Neurochase om optimerad dosering och injektion av CG01 inför de kliniska studierna. Att vi nu tillsammans med Neurochase påbörjat arbetet att utveckla en säker administrationsmetod för vår CG01 är ytterligare en viktig milstolpe i detta projekt.

Efter ett intensivt 2020 väntar nu ett lika intensivt 2021 där vi kommer att fokusera på de avslutande delarna av CG01:s prekliniska program samt GMP-produktion av CG01 för vår första kliniska studie som beräknas starta under 2022.

*Karin Agerman
Chief Research and Development Officer*



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



CG01 – milstolpar

2016

- Första screeningstudie genomförd.
- Val av slutgiltig läkemedelskandidat.

2017

- Data från dos-responsstudie visar dosberoende anti-epileptisk effekt.
- Preklinisk konceptverifieringsstudie i en modell av kronisk epilepsi inleds.
- Studie i mänsklig epileptisk hjärnvävnad från farmakoresistenta epilepsipatienter bekräftar att CG01 kan uttryckas i mänskliga celler.

2018

- Slutliga 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 CG01.
- Horizon 2020, EU:s ramprogram för forskning och utveckling, anslår 3,36 miljoner EUR för utveckling och kommersialisering av CG01.

2019

- Förvärv av Panion Animal Health ger CombiGene fullständig kontroll över samtliga immateriella tillgångar i CG01-projektet.
- Avtal med CRO-bolaget Northern Biomedical Research som är specialiserat på prekliniska studier i centrala nervsystemet. Avtalet omfattar utvärdering av läkemedelskandidaten CG01 i en mindre pilotstudie, en biodistributionsstudie samt en säkerhetsstudie, en så kallad toxikologistudie.
- Avtal med CDMO-bolaget Cobra Biologics angående GMP-produktion av CG01 för kliniska studier och framtida kommersiell produktion.

2020

- Preklinisk farmakokinetikstudie slutförd med positiva resultat. Studien bekräftar att CG01 skapar ett långvarigt uttryck av de verksamma substanserna NPY och Y2.
- Inlärnings- och minnesstudie visar att NPY och Y2 inte har någon signifikant negativ påverkan på kognitiva funktioner.

- Leverans av de tre plasmider som behövs för att producera CG01.
- Leverans av mastercellbanker för de tre plasmiderna.
- Framgångsrik pilotstudie av suspension som produktionsmetod.
- Positiva svar från tropismstudie.
- Avtal om GMP-produktion med Cobra avseende plasmider för CG01.
- Analysmetoder för kvalitetskontroll av produktionen av CG01 utvecklade i samarbete med CGT Catapult.
- Produktionsavtal med Viralgen för produktion av CG01.
- Avtal med brittiska Neurochase om utveckling av optimerad administration av CG01.
- Första storskaliga produktionen av CG01 hos den spanska genterapitillverkaren Viralgen.



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



Totalmarknaden för lipodystrofiprojektet CGT2 uppskattas till 700 – 1450 miljoner USD

Med lipodystrofiprojektet, som inlicensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB (Lipigon) hösten 2019, expanderar CombiGenes verksamhet till att omfatta även metabola sjukdomar. Det initiala målet för projektet är att utveckla en genterapibehandling för partiell lipodystrofi, en mycket ovanlig sjukdom som idag helt saknar adekvat behandling. Projektet befinner sig i ett tidigt utvecklingsstadium.

Partiell lipodystrofi är en mycket sällsynt sjukdom som idag saknar verk samma behandlingsmöjligheter. Man uppskattar att det idag finns cirka 500 patienter i USA och 300 patienter i EU och att patientpopulationen förväntas växa med knappt fyra procent om året. Om man antar att CGT2 kommer att behandla mellan 25 och 50 procent av patienterna och att behandlingen per patient ligger på 1,5 miljoner USD i USA och 1,3 miljoner USD i Europa blir den totala försäljningspotentialen mellan 700 – 1450 miljoner USD.

Det finns en annan grupp patienter med lipodystrofi som saknar ett ämne som heter leptin. Denna grupp av patienter kommer initialt inte att behandlas med CGT2, men det finns idag

en medicinsk behandling som kostar 850 000 USD i USA per år och patient, vilket indikerar att det finns en hög betalningsvilja för denna typ av sjukdom.

Samarbetspartner

Lipigon utvecklar nya behandlingar för patienter med lipidrelaterade sjukdomar. Bolaget har grundats baserat på 50 års lipidforskning vid Umeå Universitet. Bolagets primära fokus ligger på sÄrläkemedel och nischindikationer. Utöver avtalet med CombiGene innehåller Lipigons pipeline ytterligare tre aktiva program; ett RNA-läkemedelsprogram "Lipisense", ett småmolekylsprogram i samarbete med HitGen och ett RNA-läkemedel mot chocklunga (ARDS). www.lipigon.se.

Några ord från vår Preclinical Project Manager

CGT2 - uppdatering

CGT2, CombiGenes projekt för att utveckla en genterapeutisk behandling av partiell lipodystrofi befinner sig i tidig preklinisk utveckling. Sedan vi licensierade in projektet från Lipigon 2019 har tempot i projektet accelererat och vi börjar nu se de första frukterna av detta arbete.

Första steget med att designa genterapivektorer och testa dessa in vitro (tester på olika leverceller) har genomförts med goda resultat. I kvartalet inledde vi projektets nästa steg med den första in vivo studien.

Viktiga händelser under fjärde kvartalet 2020

- **Första in vivo-studien.** CombiGene startade i kvartalet en första selektion av läkemedelskandidater i en in vivo-studie. I försöket analyserar vi nivån på proteinuttrycket från de olika läkemedelskandidaterna samt i vilka organ



Annika Ericsson
Preclinical Project Manager

det uttrycks. Nästa fas i gallringsprocessen är att inleda ytterligare en in vivo-studie där vi mäter vilken effekt de olika kandidaterna har på fettlever, som är det tillstånd som CGT2-projektet primärt avser att behandla i partiell lipodystrofi.

Annika Ericsson
Preclinical Project Manager

Lipodystrofiprojektet – milstolpar



2019

- Inlicensiering av projektet från Lipigon.

2020

- Design av expressionsplasmider som är ett utgångsmaterial för de genterapeutiska vektorer CombiGene avser att utveckla för behandling av partiell lipodystrofi.
- In vitro studier (tester på leverceller) uppvisar korrekt proteinuttryck.
- Prioritetsgrundande patentansökan inlämnad till Storbritanniens patentverk.
- Första in vivo-studie startas för att mäta nivån på proteinuttrycket från de olika läkemedelskandidaterna samt i vilka organ det uttrycks.

Genterapi attraherar stort intresse

Genterapi är ett av de mest dynamiska områdena inom dagens läkemedelsutveckling. Vid utgången av tredje kvartalet 2020 pågick 373 kliniska studier, varav 35 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 de tre första kvartalen 2020 till 12 miljarder dollar.

Det stora intresset för genterapi från såväl forskare som 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 och EU. Den 30 augusti 2017 godkände den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för första gången ett genterapeutiskt läkemedel för den amerikanska marknaden. Vid utgången av 2019 fanns det fyra produkter som är godkända för både USA och EU. Utöver detta finns ytterligare tre produkter godkända i EU och en i USA. 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.



Finansiell information

Intäkter och resultat

Koncernen har omsatt 0 (0) TSEK under perioden januari-december. Övriga rörelseintäkter uppgår till 12 029 (15 730) TSEK varav 10 731 (14 955) TSEK avser intäktsförd del av erhållit bidrag från Horizon 2020. Rörelseresultatet för perioden uppgår till -28 159 (-17 690) 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-december uppgår till 13 650 TSEK. Likviditeten vid periodens utgång uppgår till 48 895 TSEK. Soliditeten uppgår till 89,95%.

Likviditet och finansiering

Det totala anslaget från Horizon 2020 uppgår till 3,36 miljoner euro varav 2,9 miljoner euro hitintills har utbetalats till Bolaget. Styrelsen och företagsledningen utvärderar kontinuerligt alternativ för att säkerställa bolagets finansiering på kort och medellång sikt. Den 9 september återbetalades återstående delen av det lån som upptogs i november 2019. Långivare var Modelio Equity AB och Munkekullen 5 förvaltning AB.

Den 18 februari 2020 beslutade styrelsen att genomföra en företrädesemission av units, bestående av aktier och teckningsoptioner. Det slutgiltiga resultatet av företrädesemissionen visade att units för totalt 13,44 MSEK tecknades med företrädesrätt, motsvarande 41,3 procent av företrädesemissionen. Ytterligare intresseanmälningar om teckning av units utan stöd av uniträtter tillkom om 12,84 MSEK. Därmed tecknades units för totalt 26,28 MSEK, vilket motsvarar en teckningsgrad om 80,81 procent. Bolaget tillfördes 26,28 MSEK före emissionskostnader genom företrädesemissionen. Emissionskostnaderna uppgick till 4,7 MSEK, varav cirka tre miljoner kvittades mot nyemitterade aktier till garanterna. Teckningskursen per aktie uppgick till 0,50 kronor och teckningsoptionerna gavs ut utan vederlag. Totalt gavs det i företrädesemissionen ut 52 568 360 aktier, 26 284 180 teckningsoptioner av serie TO3 och 26 284 180 teckningsoptioner av serie TO4.

Den 24 april 2020 beslutade styrelsen att genomföra en riktad emission av units bestående av aktier och teckningsoptioner om totalt 4 MSEK till Modelio Equity AB (publ) samt Oscar Molse. Den riktade emissionen genomfördes på i huvudsak samma villkor som den då nyligen genomförda företrädesemissionen, innebärande att Modelio och Oscar Molse, med hälften var, tecknade totalt 4 000 000 units, bestående av totalt 8 000 000 aktier, 4 000 000 teckningsoptioner av serie TO3 och 4 000 000 teckningsoptioner av serie TO4. Teckningskursen per aktie uppgick till 0,50 kronor och teckningsoptionerna gavs ut vederlagsfritt. CombiGene tillfördes initialt 4 MSEK genom emissionen av aktierna, före emissionskostnader som uppgick till cirka 0,1 MSEK.

Den 4 augusti 2020 beslutade styrelsen att genomföra en riktad nyemission av 21 588 125 units, vardera unit bestående av en aktie och en teckningsoption av serie TO5, till ett pris av 0,72 kronor per unit, motsvarande en initial investering om 1,5 miljoner euro eller ca 15,5 miljoner kronor, före emissionskostnader, till det holländska investmentföretaget NYIP, Nyenburgh Holding BV, en ledande holländsk life-science investerare. Teckningsoptionerna av serie TO5 ges ut vederlagsfritt och har samma villkor som Bolagets teckningsoptioner av serie TO4. Vid fullt utnyttjande av samtliga teckningsoptioner tillförs CombiGene maximalt ytterligare ca 15 MSEK, före emissionskostnader.

Den 31 augusti 2020 avslutades perioden för utnyttjande av teckningsoptioner av serie TO3 för teckning av aktier. Totalt hade då 29 450 679 teckningsoptioner utnyttjats för teckning av aktier och varje teckningsoption berättigade till teckning av en (1) ny aktie i CombiGene till en teckningskurs per aktie om 0,6 kronor. Nyttjandegraden uppgick således till cirka 97,25 procent och genom teckningsoptionerna tillfördes CombiGene därmed 17,7 MSEK före emissionskostnader.

Styrelsen beslutade den 16 september 2020, med stöd av årsstämmans bemyndigande, att genomföra en riktad nyemission av 1 561 365 aktier till Lipigon Pharmaceuticals AB med anledning av det licensavtal som sedan tidigare ingåtts mellan CombiGene och Lipigon. Nyemissionen genomfördes för att erlagga den andra delmålsbetalningen till Lipigon under licensavtalet. Delmålsbetalningen uppgick till 1 499 999,63 kronor och betalades genom nyemission av 1 561 365 aktier.

Lund den 17 februari 2021, CombiGene AB (publ)

Bert Junno
Ordförande

Jonas Ekblom
Styrelseledamot

Jan Nilsson
Styrelseledamot och VD

Per Lundin
Styrelseledamot

Peter Nilsson
Styrelseledamot

Den 30 november 2020 avslutades perioden för utnyttjande av teckningsoptioner av serie TO4 och TO5 för teckning av aktier. Totalt hade då 29 466 723 teckningsoptioner av TO4 och 21 588 125 teckningsoptioner av TO5, totalt 51 054 848 teckningsoptioner, utnyttjats för teckning av aktier och varje teckningsoption berättigade till teckning av en (1) ny aktie i CombiGene till en teckningskurs per aktie om 0,5 kronor. Den sammanlagda nyttjandegraden uppgick således till cirka 98,4 procent och genom teckningsoptionerna tillfördes CombiGene därmed 25,5 MSEK före emissionskostnader.

Aktien

Antalet aktier vid periodens utgång uppgick till 229 277 024 st med kvotvärde om 0,10 SEK. Periodens genomsnittliga antal aktier uppgår till 178 780 152. Samtliga aktier är av samma slag och har samma rösträtt.

Personal

Antalet anställda i koncernen vid periodens utgång uppgick till 5 (3), av vilka 3 (2) var kvinnor. Därtill kom en administrativ resurs som var anlitad som 1 (2) konsult varav 1 (2) 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 BFNR 2012:1 (K3) vid upprättandet av sina finansiella rapporter. Samma redovisningsprinciper har använts i denna delårsrapport som i den senaste årsredovisningen.

Förslag till disposition av resultat

Styrelsen föreslår att ingen vinstutdelning sker för räkenskapsåret 2020.

Årsstämma och årsredovisning

Ordinarie bolagsstämma 2021 kommer att avhållas den 25 maj. Mer information om bolagsstämmans genomförande kommer att presenteras vid ett senare tillfälle. Årsredovisningen kommer att hållas tillgänglig för allmänheten på bolagets kontor i Lund samt publiceras på bolagets webbplats senast tre veckor innan stämman.

Granskning av revisor

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

Kommande finansiell rapport

Delårsrapport januari – mars 2021, den 12 maj 2021.

För ytterligare information:

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

Koncernens resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2020 okt-dec	2019 okt-dec	2020 jan-dec	2019 jan-dec
Nettoomsättning	0	0	0	0
Övriga rörelseintäkter	3 171	3 908	12 029	15 730
Rörelsens kostnader				
Övriga externa kostnader	-11 104	-9 678	-29 640	-25 263
Personalkostnader	-2 382	-2 059	-7 185	-6 165
Övriga rörelsekostnader	0	-404	-869	-825
Rörelseresultat före avskrivningar	-10 315	-8 234	-25 665	-16 524
Avskrivningar	-649	-592	-2 495	-1 166
Rörelseresultat efter avskrivningar	-10 964	-8 826	-28 159	-17 690
Finansiellt netto	0	-210	-1 392	-238
Resultat efter finansiella poster	-10 964	-9 037	-29 551	-17 929
Skatter	0	0	0	0
Periodens resultat	-10 964	-9 037	-29 551	-17 929
Hänförligt till				
Moderbolagets aktieägare	-10 964	-8 878	-29 383	-17 602
Innehav utan bestämmande inflytande	0	-159	-169	-326
Resultat per aktie före utspädning	-0,05	-0,14	-0,13	-0,28
Resultat per aktie efter utspädning	-0,05	-0,14	-0,13	-0,28
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	180 441 952	64 389 048	178 780 152	57 543 838
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	180 441 952	64 389 048	178 780 152	57 543 838
Utestående antal aktier	229 277 024	65 053 647	229 277 024	65 053 647

Koncernens balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2020 31 dec	2019 31 dec
Belopp i TSEK		
TILLGÅNGAR		
Immateriella anläggningstillgångar	24 046	24 936
Summa anläggningstillgångar	24 046	24 936
Omsättningstillgångar		
Varulager	824	0
Övriga fordringar	5 649	3 716
Kassa och bank	48 895	15 166
Summa omsättningstillgångar	55 368	18 882
Summa tillgångar	79 414	43 818
SKULDER OCH EGET KAPITAL		
Aktiekapital	22 928	6 505
Övrigt tillskjutet kapital	136 305	69 348
Annat eget kapital	-58 417	-39 787
Årets resultat	-29 383	-17 602
Eget kapital hänförligt till moderbolagets aktieägare	71 433	18 464
Minoritetsintresse	0	1 840
Summa eget kapital	71 433	20 304
Skulder		
Kortfristiga skulder	7 981	23 514
Summa skulder	7 981	23 514
Summa eget kapital och skulder	79 414	43 818

Rapport i sammandrag över koncernens förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktie- kapital	Övrigt tillskjutet kapital	Annat eget kapital	Årets resultat	Innehav utan bestämmande inflytande	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	6 505	68 941	-39 380	-17 602	1 840	20 305
Resultatdisposition						
- Omföring av föregående års resultat			-17 602	17 602		0
Förvärv från innehav utan bestämmande inflytande			-1 435		-1 672	-3 107
Emissioner	16 422	74 103				90 525
Emissionskostnader		-6 740				-6 740
Periodens resultat				-29 383	-169	-29 551
Belopp vid periodens utgång	22 928	136 305	-58 417	-29 383	0	71 433

Koncernens kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2020	2019	2020	2019
	okt-dec	okt-dec	jan-dec	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-11 666	4 438	-38 350	-21 605
Kassaflöde från investeringsverksamheten	1 500	0	-105	-1 521
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	23 816	6 942	72 184	6 487
Periodens kassaflöde	13 650	11 380	33 729	-16 639
Likvida medel vid periodens början	35 245	3 786	15 166	31 805
Likvida medel vid periodens slut	48 895	15 166	48 895	15 166

Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2020 okt-dec	2019 okt-dec	2020 jan-dec	2019 jan-dec
Nettoomsättning	0	0	0	0
Övriga rörelseintäkter	3 171	3 908	12 029	15 730
Rörelsens kostnader				
Övriga externa kostnader	-11 044	-8 870	-29 136	-23 732
Personalkostnader	-2 382	-2 060	-7 185	-6 064
Övriga rörelsekostnader	0	-404	-869	-825
Rörelseresultat	-10 256	-7 426	-25 160	-14 891
Avskrivningar	-75	-19	-200	-19
Rörelseresultat efter avskrivningar	-10 331	-7 445	-25 360	-14 910
Finansiellt netto	-3 442	-206	-4 352	-181
Resultat efter finansiella poster	-13 773	-7 651	-29 712	-15 091
Skatter	0	0	0	0
Periodens resultat	-13 773	-7 651	-29 712	-15 091

Moderbolagets balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2020	2019
	31 dec	31 dec
TILLGÅNGAR		
Immateriella anläggningstillgångar	4 540	3 135
Finansiella anläggningstillgångar	23 175	23 463
Summa anläggningstillgångar	27 714	26 598
Omsättningstillgångar		
Varulager	824	0
Övriga fordringar	6 233	3 684
Kassa och bank	48 703	14 959
Summa omsättningstillgångar	55 759	18 643
Summa tillgångar	83 474	45 241
SKULDER OCH EGET KAPITAL		
Bundet eget kapital		
Aktiekapital	22 928	6 505
Reservfond	4	4
Fond för utvecklingskostnader	612	508
Fritt eget kapital		
Överkursfond	116 619	49 255
Balanserad förlust inklusive årets resultat	-64 604	-34 787
Summa eget kapital	75 558	21 484
Skulder		
Kortfristiga skulder	7 916	23 757
Summa skulder	7 916	23 757
Summa eget kapital och skulder	83 474	45 241

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	Årets resultat	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	6 505	4	507	49 255	-19 697	-15 091	21 485
Resultatdisposition							0
- Omföring av föreg års resultat					-15 091	15 091	0
Årets utvecklingskostnader			104		-104		0
Emissioner	16 422			74 103			90 525
Emissionskostnader				-6 740			-6 740
Periodens resultat						-29 712	-29 712
Belopp vid periodens utgång	22 928	4	612	116 619	-34 892	-29 712	75 558

Moderbolagets kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2020	2019	2020	2019
	okt-dec	okt-dec	jan-dec	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-11 451	5 507	-38 282	-14 971
Kassaflöde från investeringsverksamheten	1 452	-1 158	-3 259	-8 706
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	23 646	7 011	75 285	7 011
Periodens kassaflöde	13 647	11 361	33 744	-16 665
Likvida medel vid periodens början	35 056	3 598	14 959	31 625
Likvida medel vid periodens slut	48 703	14 959	48 703	14 959

Nyckeltal för koncernen

Belopp i TSEK	2020	2019	2020	2019
	okt-dec	okt-dec	jan-dec	jan-dec
Resultat per aktie före utspädning, kr	-0,05	-0,14	-0,13	-0,28
Resultat per aktie efter utspädning, kr	-0,05	-0,14	-0,13	-0,28
Eget kapital per aktie, kr	0,31	0,31	0,31	0,31
Soliditet, %	89,95	46,34	89,95	46,34
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	180 441 952	64 389 048	178 780 152	57 543 838
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	180 441 952	64 389 048	178 780 152	57 543 838
Utestående antal aktier	229 277 024	65 053 647	229 277 024	65 053 647

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
2019	Nyemission	6 373 090	706	63 730 896	7 060	0,10
2019	Nyemission	6 505 365	132 275	65 053 647	1 322 751	0,10
2020	Nyemission	11 762 201	5 256 836	117 622 007	52 568 360	0,10
2020	Nyemission	12 562 201	800 000	125 622 007	8 000 000	0,10
2020	Nyemission	14 721 013	2 158 813	147 210 132	21 588 125	0,10
2020	Nyemission	17 666 081	2 945 068	176 660 811	29 450 679	0,10
2020	Nyemission	17 822 218	156 137	178 222 176	1 561 365	0,10
2020	Nyemission	20 768 890	2 946 672	207 688 899	29 466 723	0,10
2020	Nyemission	22 927 702	2 158 813	229 277 024	21 588 125	0,10
Vid periodens utgång		22 927 702		229 277 024		0,10

Ordlista

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

CDMO-bolag. Kontraktstillverkare.

CG01. CombiGenes epilepsiprojekt.

CNS. Centrala nervsystemet.

CGT2. CombiGenes projekt för behandling av partiell lipodystrofi.

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.

EU4. Frankrike, Italien, Spanien 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. Preklinisk 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's lead project CG01 has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 823282

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 CGT2. 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.



www.combigene.com

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

