



"Spark Therapeutics beslut att avsluta samarbetsavtalet för CG01 kom mycket överraskande och var självfallet en mycket stor besvikelse för alla som på ett eller annat sätt verkat för projektets framgång. CombiGenes styrelse och ledning arbetar nu med att utvärdera den situation som uppkommit och utreda hur samarbetet med Spark ska avslutas och överlämnas på bästa sätt samt dess inverkan på bolaget framåt."

"Vi borstar nu av oss besvikelsen, ser vilka lärdomar vi kan dra inför framtiden, blickar framåt och fortsätter vårt arbete att utveckla CombiGene genom att fokusera på våra projekt och vår affärsutveckling."

Peter Ekolind
Vd för CombiGene

Delårsrapport
Januari - september 2023

Q3



Sammanfattning av rapporten

Händelser under perioden

- Epilepsiprojektet avancerar genom optimeringsaktiviteter av CG01 inför studier i människa. (5 september)
- CombiGene väljer CDMO-partner till smärtprojektet COZY01 (15 september)

Händelser efter periodens utgång

- Spark Therapeutics avslutar samarbetsavtalet för epilepsiprojektet CG01 med CombiGene. (14 oktober)
- CombiGene och Zyneyro väljer första indikation i smärtprojektet COZY01 (26 oktober)
- CombiGene väljer Charles River som preklinisk toxikologipartner i smärtprojektet COZY01 (31 oktober)

Finansiell information

Juli – september 2023

- Nettoomsättning: 992 (5 213) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 173 (8 285) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -8 403 (3 953) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,42 SEK (0,20).

Januari – september 2023

- Nettoomsättning: 4 948 (21 354) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 588 (20 888) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -29 305 (5 785) TSEK.
- Resultat per aktie: -1,48 kr (0,29).
- Likvida medel: 107 187 (144 940) TSEK.

För mer information:

Peter Ekolind, vd
Tel: +46 (0)8-35 73 55
peter.ekolind@combigene.com

Läsanvisning

Belopp inom parentes avser motsvarande period föregående år.

En snabb blick på CombiGene

| Företaget | Våra projekt | Vårt team | Kassa |
|---|--|---|---|
| CombiGene är det enda noterade genterapibolaget i Norden. Bolaget noterades den 25 maj 2015 på SPOTLIGHT Stock Market (dåvarande Aktie-Torget). I december 2018 godkändes CombiGene för notering på Nasdaq First North Stockholm. | CombiGene har för närvarande fyra projekt: <ul style="list-style-type: none"> • Smärtprogrammet COZY som består av en peptidbehandling och en genterapi • Lipodystrofiprojektet CGT2 • Epilepsiprojektet CG01 – utvärdering pågår | CombiGene har 11 anställda. Vårt team består av mycket kunniga och erfarna medarbetare med lång erfarenhet från internationell läkemedelsindustri och bioteknik och med grundlig kunskap om olika aspekter av läkemedelsutveckling och genterapi. | Vid utgången av tredje kvartalet 2023 hade CombiGene likvida medel uppgående till 107 187 (144 940) TSEK. |



Besvikelse i epilepsisamarbetet med Spark Fortsatt intensiv utveckling av smärtprogrammet

Den 14 oktober meddelade CombiGene att Bolaget kommer att få tillbaka de globala rättigheterna för epilepsiprojektet CG01 senast den 12 januari 2024 efter ett strategiskt beslut hos Spark Therapeutics att avsluta deras vidare utveckling av projektet. Jag vill i detta vd-ord ge min syn på det inträffade och berätta hur jag ser på framtiden för CombiGene.

Spark Therapeutics avslutar CG01-samarbetet

Spark Therapeutics har sedan vårt samarbete inleddes i oktober 2021 arbetat intensivt med att slutföra den prekliniska fasen i CG01-projektet och förbereda projektet för kliniska studier. Deras beslut att nu avsluta utvecklingen av CG01 var därför mycket oväntat och är självklart en enorm besvikelse för alla oss som på olika sätt verkat för projektets framgång.

Mitt i vår stora besvikelse måste vi dock inse att händelser som denna är en del av vardagen för alla läkemedelsbolag. Utveckling av läkemedel är förknippat med omfattande risker av både utvecklingsteknisk och affärsstrategisk karaktär, vilket är en av anledningarna till att CombiGene arbetar hårt för att bredda projektportföljen.

Något förenklat kan man säga att ju bredare projektportfölj man har, desto större är chanserna till framgång. Samtidigt är det givetvis viktigt att hushålla med befintliga finansiella resurser, och hela tiden prioritera aktiviteter där man kan uppnå påtagligt värdeskapande till en rimlig kostnad.

Det råder för närvarande också ett bister klimat i hela biotech-branschen, vilket bland annat avspeglar sig i en generellt sett mycket låg värdering av små och medelstora läkemedelsutvecklingsbolag. Även de stora läkemedelsföretagen påverkas av de tuffa tiderna och

vi har under senare tid sett flera strategiska beslut om minskade projektportföljer och avslutade samarbeten. Detta gör inte att vår besvikelse blir mindre, men jag ser det som viktigt att sätta det inträffade i rätt sammanhang – all läkemedelsutveckling är förenad med hög risk och strategiska beslut bland de stora läkemedelsföretagen kan drabba såväl enskilda utvecklingsprojekt som hela terapiområden.

CombiGenes styrelse och ledning arbetar nu med att utvärdera den situation som uppkommit och utreda hur samarbetet med Spark ska avslutas och överlämnas på bästa sätt samt dess inverkan på bolaget framåt. Vi kommer självfallet informera marknaden så snart vi beslutat vilken väg vi valt.

Viktigt att veta är att CombiGene inte är återbetalningsskyldigt för någon av de ersättningar som bolaget erhållit från Spark Therapeutics, totalt 8,5 miljoner USD exklusive utvecklingskostnader, men inte heller berättigat till några framtida milstolpsersättningar eller royalties.

Så vad händer nu?

Nu borstar vi av oss besvikelsen, ser vilka lärdomar vi kan dra inför framtiden, blickar framåt och fortsätter vårt arbete att utveckla CombiGene genom att fokusera på våra projekt och vår affärsutveckling. Trots besvikelsen



så har vi på CombiGene visat att vi är kapabla till att ta in ett tidigt projekt, skapa värdeökning i projektet som gör det intressant för ett multinationellt läkemedelsföretag att licensiera in det för fortsatt utveckling. Det är en styrka hos vårt team som vi bygger vidare på inför framtida projekt.

Högt tempo i smärtprojektet COZY01

Samtidigt är det viktigt att komma ihåg att CombiGene är ett bolag med fler än ett projekt. Vi har inte bara CG01, vi fortsätter också arbetet med att samla in data för vårt andra projekt, CGT2. I vårt nya smärtprogram COZY har vi två projekt, ett peptid- och ett genterapiprojekt med en hög aktivitetsnivå och en mycket stor marknadspotential.

Under årets tredje kvartal valde vi CDMO-partner (produktionspartner) för COZY01 och under inledningen av det fjärde kvartalet valde vi partner för de kommande prekliniska toxikologistudierna samt indikationer för det kliniska prövningsprogrammet.

Det finns med andra ord ingen brist på spännande arbetsuppgifter på CombiGene och vi kommer att arbeta oförtrutet vidare för att utveckla våra projekt.

Peter Ekolind
Vd

Smärtprogrammet COZY – en unik möjlighet för ett genombrott inom smärtbehandling

Smärtprogrammet COZY utvecklas tillsammans med det danska företaget Zyneyro med målet att utveckla en effektiv behandling för svår kronisk smärta, ett vanligt och ofta svårbehandlat tillstånd. Programmet består av två projekt – en peptidbehandling och en genterapibehandling, som båda bygger på en ny biologisk verkningsmekanism som förväntas sakna de biverkningar som dagens behandlingar ofta ger upphov till.

Smärta är ett stort globalt problem

Cirka 20-25 procent av världens vuxna befolkning lider av någon form av kronisk smärta och mellan sex och åtta procent av befolkningen drabbas av svår kronisk smärta. Konventionell behandling består främst av antiinflammatoriska läkemedel, antidepressiva medel, kramplösningsmedel och opioider (en grupp ämnen med en morfinliknande verkningsmekanism).¹

Problemet med dessa behandlingar är att de inte är specifikt utvecklade för att behandla kronisk smärta. Den smärtlindring som uppnås har därför ofta ett antal funktionsnedsättande biverkningar såsom missbruksproblematik, depression, ångest, trötthet, nedsatt fysisk och psykisk förmåga. I USA har uppskattningsvis 700 000 människor dött på grund av opioidmissbruk de senaste 20 åren.

Ett program – två projekt

Programmet består av två projekt: en peptid (COZY01) och en genterapibehandling (COZY02), som uttrycker den aktiva delen av peptiden från COZY01, med potentiell livslång effekt.

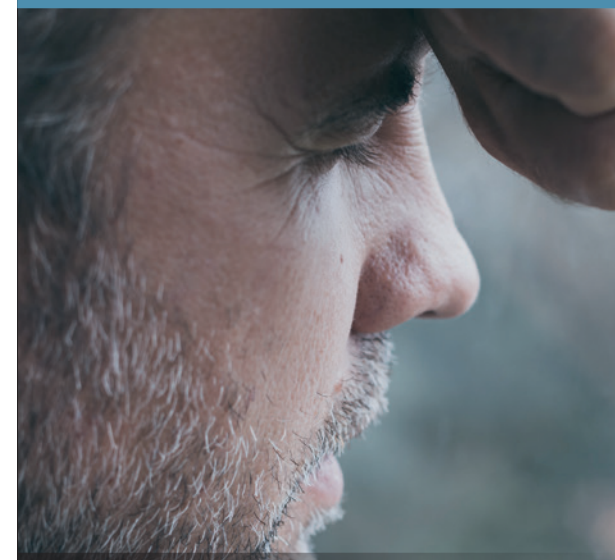
Vid svår kronisk smärta är avsikten att administrera peptiden direkt till patienten för att uppnå effektiv smärtlindring.

Vid svår kronisk smärta där möjligheterna för spontan minskning av smärtan bedöms som utesluten eller osannolik och som vid konventionell behandling kräver daglig medicinering, är avsikten att uppnå smärtlindring genom att behandla patienten med en AAV-vektor som får kroppen att själv producera den smärtlindrande peptiden. På så sätt kan man uppnå långvarig smärtlindring utan daglig medicinering. Eftersom AAV-vektorn kodar för den aktiva delen av COZY01 är verkningsmekanismen och därmed också den förväntade effekten desamma som vid direkt administration av peptiden.

Oberoende utvärdering av National Institutes of Health

En oberoende utvärdering av potentialen för COZY01 som en framtida smärtbehandling pågår vid National Institutes of Health (NIH) i USA, i ett statligt finansierat program (Preclinical Screening Platform for Pain, PSPP) som syftar till att hitta smärtlindringsalternativ som inte är opioidbaserade och som inte är beroendeframkallande eller resulterar i toleransutveckling. COZY01 har genomgått den första nivån av tre och har valts ut för att gå vidare till nästa nivå där substansen ska testas i en beteendemodell och i olika smärtmodeller. Under årets första halvår har CombiGene och Zyneyro arbetat med förberedande aktiviteter inför nästa steg.

Årliga sjukvårdskostnader och indirekta kostnader för olika sjukdomar i USA



Smärta: 635 miljarder USD

Hjärt/kärlsjukdomar: 309 miljarder USD

Cancersjukdomar: 243 miljarder USD

Diabetes: 188 miljarder USD

Källa: Relieving Pain in America: A Blueprint for Transforming Prevention, Care, Education, and Research. Appendix C. The Economic Cost of Pain in the US. Institute of Medicine (US) Committee on Advancing Pain Research, Care, and Education. Washington (DC): National Academies Press (US); 2011

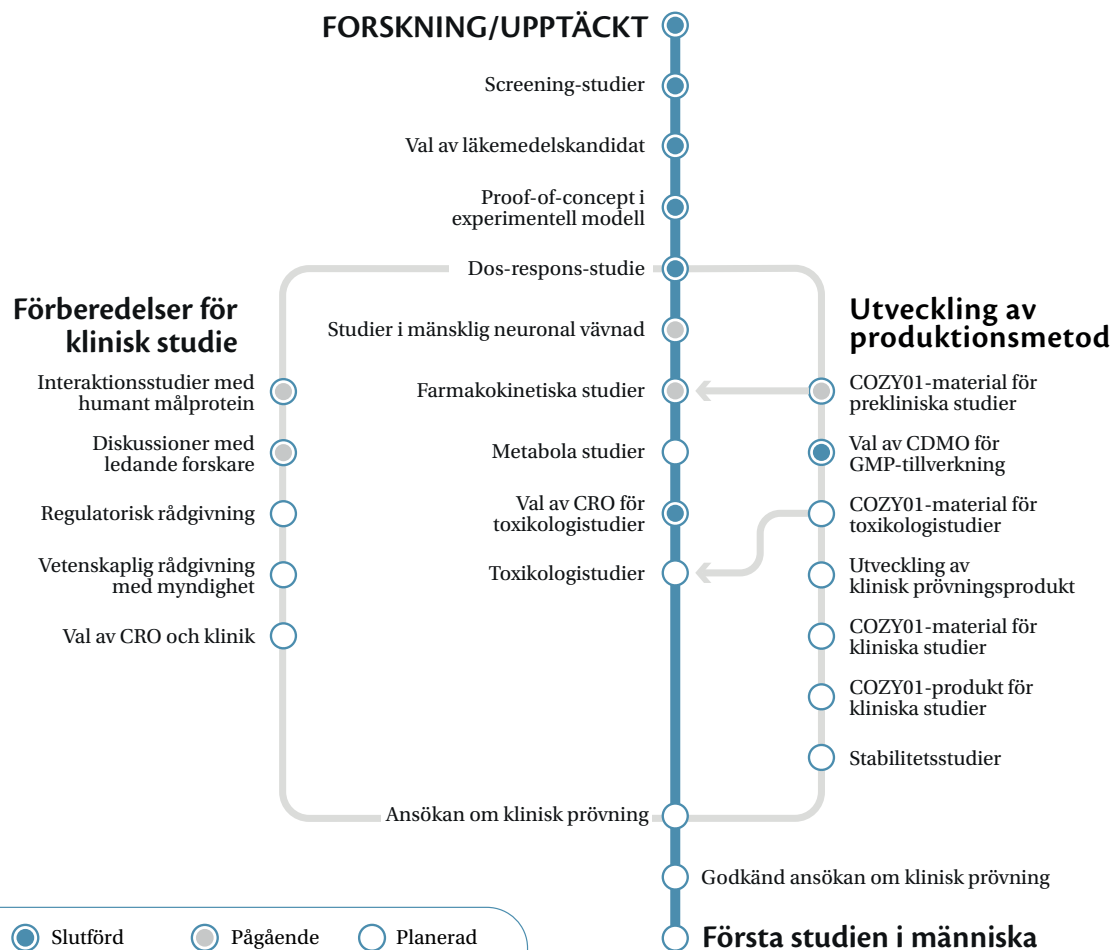
¹ Prevalence of Chronic Pain and High-Impact Chronic Pain Among Adults — United States, 2016; CDC; Morbidity and Mortality Weekly Report Weekly / Vol. 67 / No. 36 September 14, 2018

COZY01

– Roadmap

SMÄRTPROGRAMMET COZY

COZY01 – peptidbehandling av svåra kroniska smärttillstånd



COZY01 – peptidbehandling av svåra kroniska smärttillstånd

Peptidbehandlingen har visat goda effekter i olika prekliniska modeller. Den fortsatta utvecklingen kommer att fokusera på att så snabbt och effektivt som möjligt genomföra nödvändiga prekliniska studier för att utvärdera säkerhet och toxicologi samt att producera kliniskt prövningsmaterial i syfte att erhålla godkännande från regulatoriska myndigheter för att genomföra de första kliniska prövningarna på människa med COZY01.

Aktiviteter i kvartalet

- Val av det amerikanska företaget AmbioPharm till kontraktstillverkare/CDMO-partner (Contract Development and Manufacturing Organization). AmbioPharm är ett världsledande företag med mångårig erfarenhet av utveckling och tillverkning av peptider, och har full potential att bli en långvarig partner i detta projekt.

Aktiviteter efter kvartalets utgång

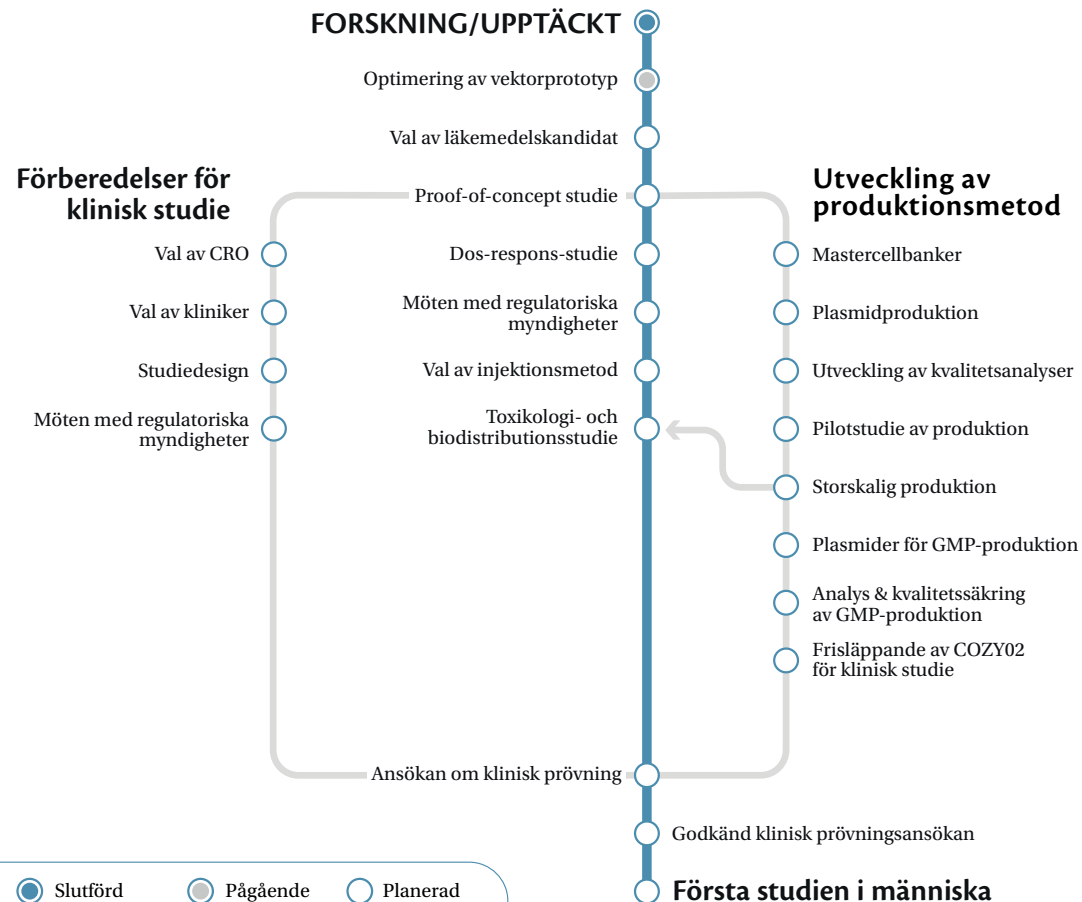
- Beslut att fokusera den första studien i människa på patienter med smärta i samband med Herpes Zoster (bältros) – en mycket smärtsam komplikation. Denna patientgrupp är förhållandevis homogen, vilket innebär att bältros lämpar sig mycket väl för att studera effekten av en COZY01-behandling.
- Val av Charles River Laboratories som partner i det peptidbaserade smärtprojektet COZY01. Charles River är en välrenommerad, global leverantör av lösningar för läkemedelsutveckling och preklinisk utveckling och kommer att utföra de prekliniska toxikologistudier som krävs för att starta de första studierna i människa i COZY01-projektet.

COZY02

– Roadmap

SMÄRTPROGRAMMET COZY

COZY02 – genterapibehandling av svår kronisk smärta



COZY02 – genterapibehandling av svår kronisk smärta där möjligheterna för spontan minskning av smärtan bedöms som utesluten

En prototyp av AAV-vektorn som fungerar som bärare av det genetiska materialet i genterapi har utvecklats av Zyneyro och testats i flera prekliniska modeller med mycket god och långvarig effekt. Det kommande arbetet är inriktat på att optimera det genetiska material som ska ingå i vektorn för att vi ska kunna administrera detta i framtida humanstudier. AAV är den vektortyp som CombiGene har lång erfarenhet av från våra andra projekt. När vektorn är optimerad följer prekliniska studier för att undersöka och karakterisera distribution, proteinuttryck, effekt, dos-respons och toxikologi.

Parallellt med den prekliniska utvecklingen kommer vi att utveckla en process för tillverkning av den valda vektorn för prekliniska studier och för framtida kliniska prövningar. Data från detta arbete kommer att ligga till grund för att söka tillstånd att genomföra en klinisk prövning på patienter med svår kronisk smärta.

CGT2 – vetenskaplig proof-of-concept-studie kommer att upprepas för att skapa underlag för beslut om den fortsatta utvecklingen

CGT2, CombiGenes projekt för att utveckla en genterapibehandling för partiell lipodystrofi, är i tidig preklinisk utveckling. Det första steget i att designa genterapivektorer och testa dem in vitro (tester på olika leverceller) har genomförts med goda resultat. Sedan dess har flera in vivo-studier utförts för att utvärdera effekt och stegvis begränsa antalet potentiella genterapikandidater.

Ytterligare studier initierade

Efter att ha stött på utmaningar med tolkningen av resultaten från flera studier som genomfördes under 2022, beslutade CombiGene att genomföra ytterligare studier under 2023 för en noggrann bedömning av CGT2-projektet. Tyvärr har dessa nya studier försenats på grund av tekniska problem hos bolagets tidigare leverantör av vektorer. CombiGene har nu bytt till en ny leverantör och de nya vektorerna kommer att användas i samarbete med University Medical Center Hamburg-Eppendorf för att genomföra och återupprepa den vetenskapliga proof-of-concept-studien som utgör själva grunden för projektet. Resultaten från denna vetenskapliga proof-of-concept-studie förväntas vara klart under första halvåret 2024.

Bidrag från EU:s internationella finansieringsprogram Eurostars

I februari 2021 tilldelades lipodystrofiprojektet 882 500 euro i projektbidrag av EU:s internationella finansieringsprogram Eurostars. Genom detta anslag samarbetar CombiGene med University Medical Center Hamburg-Eppendorf och dess experter inom lipidforskning. CGT2-projektets Eurostars finansiering sträcker sig fram till mars 2024.

PCT-ansökan har gått vidare till nationella patentansökningar i USA och EU

I augusti 2021 lämnade CombiGene in en PCT-ansökan för att skydda de vektorer som utvecklats inom CGT2-projektet. Ansökan bygger på den brittiska patentansökan som lämnades in 2020 och är ett naturligt nästa steg för att säkerställa adekvat patentskydd för lipodystrofiprojektet CGT2. Under första halvåret 2023 skickade CombiGene in nationella patentansökningar i USA och EU.

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 avsett 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.

2021

- Projektet får 882 500 EUR i utvecklingsanslag från EU:s Eurostars-program.
- PCT-ansökan inlämnas.

2022

- CombiGene tecknar avtal med professor Ormond MacDougald vid University of Michigan Medical School om att utvärdera den ledande genterapikandidaten inom lipodystrofiprojektet CGT2. Ett antal in vivo-studier genomförs, men eftersom vissa resultat är svårtolkade väljer bolaget att upprepa vissa studier under 2023.

2023

- Nationella patentansökningar i USA och EU.

Spark Therapeutics avslutar samarbetsavtalet för epilepsiprojektet CG01 med CombiGene

CombiGene kommer att få tillbaka de globala rättigheterna för epilepsiprojektet CG01 från Spark Therapeutics senast den 12 januari 2024. Samarbetsavtalet mellan CombiGene och Spark Therapeutics, som ingicks i oktober 2021, avslutas som ett resultat av ett strategiskt beslut hos Spark Therapeutics att avsluta den vidare utvecklingen av CG01 inom epilepsi som en del av deras nuvarande pipeline.

CombiGenes styrelse och ledning arbetar nu med att utvärdera den situation som uppkommit och utreda hur samarbetet med Spark ska avslutas och överlämnas på bästa sätt samt dess inverkan på bolaget framåt. CombiGene kommer självfallet informera marknaden så snart bolaget beslutat vilken väg det valt.

Samarbetsavtalet som ingicks i oktober 2021 gav Spark den exklusiva globala licensen att utveckla, tillverka och kommersialisera CG01. Enligt avtalsvillkoren

var CombiGene berättigat att erhålla upp till 328,5 miljoner USD exklusive royalties. CombiGene har också under samarbetet ersatts för överenskomna utvecklingskostnader.

CombiGene är inte återbetalningsskyldigt för någon av de ersättningar som bolaget erhållit från Spark Therapeutics, totalt 8,5 miljoner USD exklusive utvecklingskostnader, men inte heller berättigad till några framtida milstolpsersättningar eller royalties.



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

Strategi och affärsutveckling

CombiGene utvecklar banbrytande genterapier med ambitionen att kunna erbjuda patienter som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar möjligheter till ett bättre liv. Vi tar in forskningstillgångar från industri eller akademi och vidareutvecklar dem genom den prekliniska fasen fram till prekliniskt/kliniskt proof-of-concept för att därefter utlicensiera dem till något Big Pharma-bolag för klinisk utveckling och kommersialisering.

Genterapi har fantastiska medicinska möjligheter

Det finns ett stort antal sjukdomar som idag antingen kräver livslång medicinsk behandling eller som helt saknar verksamma behandlingar. Det är just dessa sjukdomar som står i fokus för utvecklingen eftersom genterapin har den unika möjligheten att kunna ersätta defekta/saknade gener eller förändra uttrycket av existerande gener. Konkret innebär detta att genterapin i vissa fall kan bota en sjukdom istället för att enbart lindra symptom och att man kan uppnå långvarig effekt från en eller ett fåtal behandlingar. Det bedrivs för närvarande cirka 300 kliniska studier inom det centrala nervsystemet, infektionssjukdomar och metabola sjukdomar med flera.

Genterapins kommersiella möjligheter

Genterapi är inte bara ett intressant forskningsfält. Efter att två genterapier godkänts under andra kvartalet 2023 finns det nu nio genterapier som är godkända inom EU och/eller i USA och enligt Alliance for Regenerative Medicines kan ytterligare tre genterapier komma att godkännas under 2023. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har tidigare meddelat att de räknar med att godkänna 10 till 20 nya cell- och genterapier årligen från 2025 och framåt. Enligt Precedence Research förväntas marknaden för genterapi växa globalt till 15,7 miljarder USD 2030.

Omfattande arbete att hitta nya projekt

CombiGene bedriver för närvarande ett intensivt arbete för att hitta nya intressanta projekt för att komplettera nuvarande projektportfölj. Utvärderingen av potentiella projekt är en strukturerad och noggrann process baserad på ett flertal centrala kriterier. Arbetet omfattar genomgång och analys av immaterialrättsfrågor, preklinisk data, tänkt avtalsstruktur, storlek på patientpopulation och medicinskt behov, konkurrenssituation samt projektets kommersiella förutsättningar.

Samtliga kriterier är viktiga och en svaghet i ett av dem, till exempel en oklar immaterialrättsituation, innebär att CombiGene väljer att inte gå vidare med projektet.

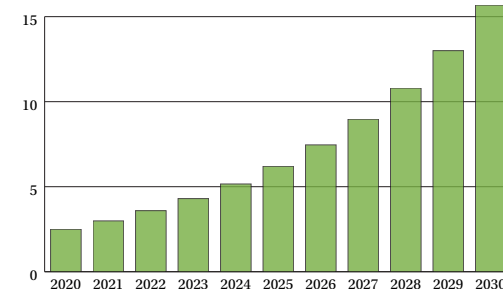
CombiGene har identifierat ett antal projekt som skulle kunna vara intressanta att licensiera in. Det rör sig bland annat om projekt för sjukdomar inom det centrala nervsystemet, endokrina sjukdomar och genetiska muskelsjukdomar. CombiGene genomför för närvarande djupare analyser av dessa projekt.

Betydelsen av en bred portfölj

Tack vare utlicensieringen av epilepsiprojektet CG01 till Spark Therapeutics hösten 2021 stärktes CombiGenes

Förväntad försäljning av genterapier 2020–2030, MUSD

Källa: Precedence Research



finansiella position, vilket gjorde det möjligt för oss att fokusera på inlicensiering av ytterligare projekt. Det första konkreta resultatet av detta är samarbetsavtalet med Zyneyro som slöts under inledningen av 2023. Vi fortsätter nu att söka nya projekt att inlicensiera med ambitionen att bygga en bred portfölj som inkluderar projekt i flera faser av läkemedelsutveckling, allt från projekt i riktigt tidig fas till projekt i klinisk utveckling. Genom att ha en bred portfölj av projekt ökar vi möjligheterna att nå kommersiella framgångar.

Aktien

CombiGene är ett publikt bolag och är noterat på Nasdaq First North Growth market. Aktiekapitalet i CombiGene ska uppgå till lägst 990 000 kronor och högst 3 960 000 kronor fördelat på lägst 19 800 000 aktier och högst 79 200 000 aktier. Det finns ett aktieslag i CombiGene. Varje aktie medför lika rätt till CombiGenes tillgångar och vinst samt berättigar till en röst på bolagsstämman. Kvotvärdet är fem (5) öre. CombiGenes aktiebok förs elektroniskt av Euroclear. Aktienamnet är CombiGene, kortnamnet är COMBI, och ISIN-koden SE0016101935.

Aktien

Antalet aktier vid periodens utgång uppgick till 19 801 197 st med kvotvärde om 0,05 SEK. Periodens genomsnittliga antal aktier uppgår till 19 801 197. Samtliga aktier är av samma slag och har samma rösträtt.

Emissionsbemyndigande

Årsstämman 2023 beslutade, i enlighet med styrelsens förslag, att bemyndiga styrelsen att, vid ett eller flera tillfällen fram till nästa årsstämma besluta om att öka bolagets aktiekapital genom nyemission av aktier, teckningsoptioner eller konvertibler. Sådant emissionsbeslut ska kunna fattas med eller utan avvikelse från aktieägarnas företrädesrätt samt med eller utan bestämmelse om apport eller kvittning. Det totala antalet aktier som ska kunna ges ut, eller, vid emission

av konvertibler eller teckningsoptioner, tillkomma efter konvertering eller utnyttjande, med stöd av bemyndigandet ska för beslut som fattas utan avvikelse från aktieägarnas företrädesrätt inte vara begränsat på annat sätt än vad som följer av bolagsordningens vid var tid gällande gränser för aktiekapitalet och antalet aktier.

För beslut som med stöd av bemyndigandet fattas med avvikelse från aktieägarnas företrädesrätt ska det totala antalet aktier som ska kunna ges ut, eller, vid emission av konvertibler eller teckningsoptioner, tillkomma efter konvertering eller utnyttjande, vara begränsat till 50 procent av vid var tid utestående antal aktier. Om styrelsen beslutar om emission med avvikelse från aktieägarnas företrädesrätt ska skälet vara att kunna bredda ägarkretsen, anskaffa rörelsekapital, öka

likviditeten i aktien eller genomföra företagsförvärv. Vid sådan avvikelse från aktieägarnas företrädesrätt ska emissionen genomföras på marknadsmässiga villkor.

LTI 2022

Årsstämman 2022 beslutade, i enlighet med styrelsens förslag, om införande av ett prestationsbaserat incitamentsprogram kallat LTI 2022, riktad emission av 900 000 teckningsoptioner, överlåtelse av teckningsoptionerna till deltagare i LTI 2022 samt överlåtelse av teckningsoptioner för att täcka kostnader för LTI 2022 och bemyndigande att ingå swap-avtal. En närmare beskrivning av LTI 2022 återfinns i kallelsen till årsstämman 2022.

| Tio största aktieägarna per 2023-09-30 | Summa innehav | Innehav % |
|--|---------------|-----------|
| Pareto Securities AS | 1,618,372 | 8.17% |
| Nordqvist, Jan Ivar | 1,511,587 | 7.63% |
| Avanza Pension | 1,098,776 | 5.55% |
| Thoren Tillväxt AB | 494,894 | 2.50% |
| Nordnet Pensionsförsäkring AB | 464,316 | 2.34% |
| Försäkringsaktiebolaget Skandia | 272,777 | 1.38% |
| Thomassen Skaar, Christian | 261,825 | 1.32% |
| Olsson, Per Magnus | 249,669 | 1.26% |
| Ferstad, Arne | 214,072 | 1.08% |
| Darlista, Flamur | 191,934 | 0.97% |

Finansiell information

Intäkter och resultat

Nettoomsättningen består av milstolpsersättningar samt ersättningar från licens- och samarbetsavtal. Under januari-september 2023 utgörs det av ersättning från Spark Therapeutics avseende löpande kostnader under den prekliniska utvecklingen av CG01 samt ersättning från Zyneyro för 50 procent av de kostnader för COZY-programmet som uppkommit under perioden. På grund av verksamhetens karaktär kan det uppstå stora fluktuationer mellan intäkterna för olika perioder då intäkter från milstolpsersättningar redovisas vid den tidpunkt då prestationsåtagandena är uppfyllda. Koncernen har omsatt 4 948 (21 354) TSEK under perioden januari-september. Minskningen förklaras av att CombiGene som planerat lagt mindre resurser på CG01 i takt med att Spark tagit ett allt större ansvar för projektet. Övriga rörelseintäkter uppgår till 588 (20 888) TSEK varav 518 (1 440) TSEK avser intäktsfördel av erhållet bidrag från Eurostars. Övriga rörelseintäkter består även av realiserade och orealiserade valutakursdifferenser. Rörelseresultatet för perioden uppgår till -29 305 (5 785) TSEK. De huvudsakliga kostnaderna under perioden har hänfört sig till forskning & utveckling, arvoden till konsulter och personalkostnader samt initial betalning om 5 MDKK till Zyneyro.

Kassaflöde och finansiell ställning

Kassaflödet för perioden januari-september uppgår till -23 673 (-10 412) TSEK. Likvida medel vid periodens utgång uppgår till 107 187 (144 940) TSEK. Soliditeten uppgår till 95,8 (96,3) %.

Likviditet och finansiering

EU:s Eurostars-program, som vänder sig till små och medelstora företag som vill samarbeta i forsknings-

och utvecklingsprojekt, har tilldelat CGT2-projektet utvecklingsanslag. Det totala anslaget för CombiGene uppgår till 5 miljoner kronor varav 4,1 miljoner kronor hittills har betalats ut. Styrelsen och företagsledningen utvärderar kontinuerligt alternativ för att säkerställa bolagets finansiering på kort och medellång sikt.

Incitamentsprogram och teckningsoptioner

Årsstämman 2022 beslutade om ett prestationsbaserat incitamentsprogram (LTI 2022). Programmets längd är tre år och erbjuds vissa anställda och konsulter, eller nyanställda personer, i bolaget. Maximalt 617 220 Prestationsaktierätter kan tilldelas deltagarna, vilket motsvarar cirka 3 procent av utestående aktier och röster i bolaget, samt 282 780 teckningsoptioner som kan emitteras för att säkra bolagets kostnad enligt Programmet, vilket motsvarar ca 1,4 procent av utestående aktier och röster i bolaget. I enlighet med styrelsens förslag, beslutade stämman om en riktad emission av 900 000 teckningsoptioner med rätt till teckning av nya aktier i bolaget för implementering av LTI 2022.

Personal

Antalet anställda i koncernen vid periodens utgång uppgick till 11 (11), av vilka 6 (6) är kvinnor.

Risker och osäkerhetsfaktorer

Ett läkemedelsutvecklingsbolag av CombiGenes typ kännetecknas av en hög operationell och finansiell risk. Bolaget är beroende av nuvarande och framtida licens-, samarbets- och andra avtal med erfarna samarbetspartners för utveckling och framgångsrik kommersialisering av befintliga och framtida läkemedelskandidater. Övriga faktorer som negativt

kan påverka sannolikheten för kommersiell framgång omfattar bland annat risken att CombiGenes genterapier inte bedöms vara säkra eller inte är effektiva samt risken för att verksamheten inte kan få erforderlig finansiering.

Principer för Delårsrapportens upprättande

CombiGene tillämpar årsredovisningslagen och Bokföringsnämndens allmänna råd BFAR 2012:1 (K3) vid upprättandet av sina finansiella rapporter. Samma redovisningsprinciper har använts i denna delårsrapport som i den senaste årsredovisningen.

Avvikelse från delårsrapport januari-september 2022

Jämförelsesiffrorna för perioderna juli-september och januari-september föregående år avviker från den lämnade delårsrapporten för januari-september 2022. I koncernens och moderbolagets rapporter över periodens resultat har valutakursdifferenser i Övriga rörelseintäkter respektive Övriga rörelsekostnader netto redovisats både för 2023 och 2022.

Granskning av revisor

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

Kommande finansiella rapporter

Bokslutskommuniké 2023, den 16 februari 2024.

För ytterligare information:

CombiGene AB (publ), Peter Ekolind, vd
Tel: +46 (0)8 35 73 55
Email: peter.ekolind@combigene.com

Koncernens resultaträkning i sammandrag

| Belopp i TSEK | 2023 | 2022 | 2023 | 2022 | 2022 |
|--|-------------------|-------------------|-------------------|-------------------|-------------------|
| | jul-sep | jul-sep | jan-sep | jan-sep | jan-dec |
| Rörelsens intäkter | | | | | |
| Nettoomsättning | 992 | 5 213 | 4 948 | 21 354 | 26 699 |
| Övriga rörelseintäkter | 173 | 8 285 | 588 | 20 888 | 15 044 |
| Rörelsens kostnader | | | | | |
| Övriga externa kostnader | -5 985 | -5 912 | -22 527 | -25 698 | -32 567 |
| Personalkostnader | -2 804 | -2 985 | -10 364 | -8 811 | -13 032 |
| Övriga rörelsekostnader | -127 | 0 | 0 | 0 | -496 |
| Rörelseresultat före avskrivningar | -7 750 | 4 602 | -27 356 | 7 731 | -4 352 |
| Avskrivningar | -649 | -649 | -1 946 | -1 946 | -2 595 |
| Rörelseresultat efter avskrivningar | -8 399 | 3 953 | -29 302 | 5 785 | -6 947 |
| Finansiellt netto | -4 | 0 | -4 | 0 | 790 |
| Resultat efter finansiella poster | -8 403 | 3 953 | -29 305 | 5 785 | -6 157 |
| Skatter | 0 | 0 | 0 | 0 | 0 |
| Periodens resultat | -8 403 | 3 953 | -29 305 | 5 785 | -6 157 |
| Hänförligt till | | | | | |
| Moderbolagets aktieägare | -8 403 | 3 953 | -29 305 | 5 785 | -6 157 |
| Resultat per aktie före utspädning | -0,42 | 0,20 | -1,48 | 0,29 | -0,31 |
| Resultat per aktie efter utspädning | -0,42 | 0,20 | -1,48 | 0,29 | -0,31 |
| Genomsnittligt antal aktier före utspädning | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 |
| Genomsnittligt antal aktier efter utspädning | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 |
| <i>Utestående antal aktier</i> | <i>19 801 197</i> | <i>19 801 197</i> | <i>19 801 197</i> | <i>19 801 197</i> | <i>19 801 197</i> |

Koncernens balansräkning i sammandrag

| Belopp i TSEK | 2023 | 2022 | 2022 |
|--|----------------|----------------|----------------|
| | 30 sep | 30 sep | 31 dec |
| TILLGÅNGAR | | | |
| Anläggningstillgångar | | | |
| Immateriella anläggningstillgångar | 17 167 | 19 652 | 19 004 |
| Finansiella anläggningstillgångar | 5 | 0 | 0 |
| Summa anläggningstillgångar | 17 171 | 19 652 | 19 004 |
| Omsättningstillgångar | | | |
| Kundfordringar | 183 | 0 | 4 216 |
| Övriga fordringar | 3 706 | 5 608 | 3 223 |
| Likvida medel | 107 187 | 144 940 | 131 777 |
| Summa omsättningstillgångar | 111 076 | 150 548 | 139 217 |
| SUMMA TILLGÅNGAR | 128 248 | 170 200 | 158 221 |
| SKULDER OCH EGET KAPITAL | | | |
| Aktiekapital | 990 | 990 | 990 |
| Övrigt tillskjutet kapital | 224 124 | 224 124 | 224 124 |
| Annat eget kapital | -72 992 | -66 835 | -66 835 |
| Periodens resultat | -29 305 | 5 785 | -6 157 |
| Eget kapital hänförligt till moderbolagets aktieägare | 122 817 | 164 064 | 152 122 |
| Summa eget kapital | 122 817 | 164 064 | 152 122 |
| SKULDER | | | |
| Kortfristiga skulder | 5 431 | 6 136 | 6 099 |
| Summa skulder | 5 431 | 6 136 | 6 099 |
| SUMMA EGET KAPITAL OCH SKULDER | 128 248 | 170 200 | 158 221 |

Rapport i sammandrag över koncernens förändringar i eget kapital

| Belopp i TSEK | Balanserat resultat | | | |
|----------------------------------|---------------------|---------------------------|-------------------------|--------------------|
| | Aktiekapital | Annat tillskjutet kapital | inkl periodens resultat | Summa eget kapital |
| Ingående balans vid årets början | 990 | 224 124 | -72 992 | 152 122 |
| Periodens resultat | | | -29 305 | -29 305 |
| Belopp vid periodens utgång | 990 | 224 124 | -102 297 | 122 817 |

Koncernens kassaflödesanalys i sammandrag

| Belopp i TSEK | 2023 | 2022 | 2022 |
|---|----------------|----------------|----------------|
| | jan-sep | jan-sep | jan-dec |
| Kassaflöde från den löpande verksamheten | -23 559 | -10 412 | -16 666 |
| Kassaflöde från investeringsverksamheten | -114 | 0 | 0 |
| Kassaflöde från finansieringsverksamheten | 0 | 0 | 0 |
| Periodens kassaflöde | -23 673 | -10 412 | -16 666 |
| Likvida medel vid periodens början | 131 777 | 136 744 | 136 744 |
| Valutakursdifferens i likvida medel | -917 | 18 609 | 11 699 |
| Likvida medel vid periodens slut | 107 187 | 144 940 | 131 777 |

Nyckeltal för koncernen

| | 2023 | 2022 | 2022 |
|--|------------|------------|------------|
| | jan-sep | jan-sep | jan-dec |
| Resultat per aktie före utspädning, kr | -1,48 | 0,29 | -0,31 |
| Resultat per aktie efter utspädning, kr | -1,48 | 0,29 | -0,31 |
| Eget kapital per aktie, kr | 6,20 | 8,29 | 7,68 |
| Soliditet, % | 95,77 | 96,39 | 96,15 |
| Genomsnittligt antal aktier före utspädning | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 |
| Genomsnittligt antal aktier efter utspädning | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 |
| Utestående antal aktier | 19 801 197 | 19 801 197 | 19 801 197 |

Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

| Belopp i TSEK | 2023 | 2022 | 2023 | 2022 | 2022 |
|--|---------------|--------------|----------------|--------------|---------------|
| | jul-sep | jul-sep | jan-sep | jan-sep | jan-dec |
| Rörelsens intäkter | | | | | |
| Nettoomsättning | 992 | 5 213 | 4 948 | 21 354 | 26 699 |
| Övriga rörelseintäkter | 173 | 8 315 | 594 | 20 890 | 15 044 |
| Rörelsens kostnader | | | | | |
| Övriga externa kostnader | -5 967 | -5 905 | -22 492 | -25 640 | -32 494 |
| Personalkostnader | -2 804 | -2 985 | -10 364 | -8 811 | -13 032 |
| Övriga rörelsekostnader | -136 | 0 | 0 | 0 | -492 |
| Rörelseresultat | -7 741 | 4 638 | -27 315 | 7 792 | -4 275 |
| Avskrivningar | -75 | -75 | -225 | -225 | -300 |
| Rörelseresultat efter avskrivningar | -7 816 | 4 563 | -27 540 | 7 567 | -4 575 |
| Finansiellt netto | -578 | -574 | -1 725 | -1 721 | -1 505 |
| Resultat efter finansiella poster | -8 393 | 3 989 | -29 265 | 5 845 | -6 080 |
| Skatter | 0 | 0 | 0 | 0 | 0 |
| Periodens resultat | -8 393 | 3 989 | -29 265 | 5 845 | -6 080 |

Moderbolagets balansräkning i sammandrag

| Belopp i TSEK | 2023 | 2022 | 2022 |
|---|----------------|----------------|----------------|
| | 30 sep | 30 sep | 31 dec |
| TILLGÅNGAR | | | |
| Immateriella anläggningstillgångar | 3 971 | 4 162 | 4 087 |
| Finansiella anläggningstillgångar | 17 482 | 19 159 | 18 585 |
| Summa anläggningstillgångar | 21 453 | 23 321 | 22 673 |
| Omsättningstillgångar | | | |
| Kundfordringar | 183 | 0 | 4 216 |
| Övriga fordringar | 3 907 | 6 354 | 3 980 |
| Likvida medel | 106 983 | 144 747 | 131 583 |
| Summa omsättningstillgångar | 111 074 | 151 101 | 139 779 |
| SUMMA TILLGÅNGAR | 132 527 | 174 422 | 162 452 |
| SKULDER OCH EGET KAPITAL | | | |
| Bundet eget kapital | | | |
| Aktiekapital | 990 | 990 | 990 |
| Reservfond | 4 | 4 | 4 |
| Fond för utvecklingskostnader | 868 | 760 | 760 |
| Fritt eget kapital | | | |
| Överkursfond | 165 826 | 165 826 | 165 826 |
| Balanserad förlust inklusive periodens resultat | -40 554 | 745 | -11 181 |
| Summa eget kapital | 127 133 | 168 323 | 156 398 |
| SKULDER | | | |
| Kortfristiga skulder | 5 393 | 6 099 | 6 054 |
| Summa skulder | 5 393 | 6 099 | 6 054 |
| SUMMA EGET KAPITAL OCH SKULDER | 132 527 | 174 422 | 162 452 |

Rapport i sammandrag över moderbolagets förändringar i eget kapital

| Belopp i TSEK | Aktiekapital | Reservfond | Fond för utvecklings- utgifter | | Överkursfond | Balanserat | Summa eget kapital |
|--|--------------|------------|-----------------------------------|----------------|--------------|--|--------------------|
| | | | utvecklings- utgifter | Överkursfond | | resultat inkl periodens resultat | |
| Ingående balans vid årets början | 990 | 4 | 760 | 165 826 | | -11 181 | 156 398 |
| Avsättning till fond för utvecklingsutgifter | | | 109 | | | -109 | 0 |
| Periodens resultat | | | | | | -29 265 | -29 265 |
| Belopp vid periodens utgång | 990 | 4 | 868 | 165 826 | | -40 554 | 127 133 |

Moderbolagets kassaflödesanalys i sammandrag

| Belopp i TSEK | 2023 | 2022 | 2022 |
|---|----------------|----------------|----------------|
| | jan-sep | jan-sep | jan-dec |
| Kassaflöde från den löpande verksamheten | -23 569 | -10 407 | -16 661 |
| Kassaflöde från investeringsverksamheten | -114 | 0 | 0 |
| Kassaflöde från finansieringsverksamheten | 0 | 0 | 0 |
| Periodens kassaflöde | -23 683 | -10 407 | -16 661 |
| Likvida medel vid periodens början | 131 583 | 136 545 | 136 545 |
| Valutakursdifferens i likvida medel | -917 | 18 609 | 11 699 |
| Likvida medel vid periodens slut | 106 983 | 144 747 | 131 583 |

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 |
| 2021 | Nyemission | 39 602 395 | 16 674 693 | 396 023 950 | 166 746 926 | 0,10 |
| 2021 | Omvänd split (1:20) | 39 602 395 | 0 | 19 801 197 | -376 222 753 | 2,00 |
| 2021 | Minskning aktiekapital | 990 060 | -38 612 335 | 19 801 197 | 0 | 0,05 |
| Vid periodens utgång | | 990 060 | | 19 801 197 | | 0,05 |

Styrelsens och vd:s försäkran



Jonas Ekblom



Malin Almgren



Gunilla Lundmark



Per Lundin



Peter Nilsson



Peter Ekolind

Styrelsen och verkställande direktören försäkrar att denna delårsrapport ger en rättvisande bild över utvecklingen och bolagets verksamhet, ställning och resultat samt beskriver väsentliga risker och osäkerhetsfaktorer som bolaget står inför.

Delårsrapporten har inte granskats av bolagets revisorer.

Stockholm den 10 november 2023

Jonas Ekblom
Ordförande

Malin Almgren
Ledamot

Gunilla Lundmark
Ledamot

Per Lundin
Ledamot

Peter Nilsson
Ledamot

Peter Ekolind
Vd

Ordlista

AAV Adeno-associerat virus.

AMPA-receptor En underkategori av transmembranreceptorer för glutamat som fungerar som en jonkanal och förmedlar snabb synaptisk signalöverföring i centrala nervsystemet (CNS). AMPA-receptorer finns även på perifera nerver och kan spela en roll i smärtsignalering.

C-kinas En familj av proteinkinasymer som är involverade i att kontrollera funktionen hos andra proteiner genom fosforylering av hydroxylgrupper på serin- och treoninaminosyrarester på dessa proteiner, eller en medlem av denna familj.

CDMO (Contract Development and Manufacturing Organization) Företag som betjänar andra företag inom läkemedelsindustrin på kontraktbasis för att tillhandahålla omfattande tjänster från läkemedelsutveckling till läkemedelstillverkning.

CRO (Contract Research Organization) Företag som ger stöd till läkemedels-, bioteknik- och den medicintekniska industrin i form av forskningstjänster på kontraktbasis.

Eurostars Ett finansieringsinstrument inom EU som stöder samarbeten mellan innovativa små och medelstora företag och akademiska projektpartner genom att finansiera internationella forsknings- och innovationsprojekt.

Genterapi Ett medicinskt område som fokuserar på genetisk modifiering av celler för att producera en terapeutisk effekt eller behandling av sjukdom genom att reparera eller rekonstruera defekt genetiskt material.

GMP (Good Manufacturing Practice) är ett system för att säkerställa att läkemedelsprodukter produceras och kontrolleras konsekvent enligt kvalitetsstandarder. Tillstånd för GMP beviljas av läkemedelsverket i det aktuella landet och processen kännetecknas av extremt strikta och höga krav på kvalitet i alla avseenden.

In vitro En term som används inom biomedicinsk vetenskap för att beskriva en biologisk process som genomförs i laboratorierör eller någon annan kontrollerad experimentell miljö, exempelvis odlade celler, snarare än inom en levande organism.

In vivo En term som används inom biomedicinsk vetenskap för att beskriva en experimentell biologisk process, och observationer därav, som genomförs i en levande organism.

Klinisk fas I avser den första gång som ett läkemedel under utveckling tillförs människa. Fas I-studier utförs ofta med ett litet antal friska frivilliga försökspersoner för att studera säkerhet och dosering för en ännu inte godkänd behandlingsform.

Klinisk fas II avser en studie på ett läkemedel som ges till en mindre grupp patienter för att studera säkerhet, dosering och effekt.

Klinisk fas III omfattar tillräckligt många patienter för att vara registreringsgrundande. Målsättningen är att fastställa statistisk signifikans avseende effekt för en ny läkemedelskandidat utan alltför allvarliga biverkningar under ordinära men ändå noggrant kontrollerade förhållanden. Ibland jämförs det nya läkemedlet med en etablerad behandling som exempelvis ett redan godkänt läkemedel.

Klinisk studie Forskningsstudier som undersöker om ett nytt, ännu icke-godkänt, läkemedel, medicinsk strategi, behandling eller enhet är säker och effektiv för människor.

Klinisk utveckling omfattar tre faser, se klinisk fas I, II, III ovan.

Kronisk smärta Smärta som har varat längre än tre månader. I vissa fall kan den kroniska smärtan försvinna i ett senare skede. Således är kronisk smärta inte nödvändigtvis permanent.

Lipodystrofi En sällsynt sjukdom som kännetecknas av förändrad fettfördelning på kroppen. I avsaknad av normalt kroppsfett börjar olika organ, främst levern, ackumulera fett, vilket leder till allvarliga metaboliska komplikationer, inklusive

extrem insulinresistens, hypertriglyceridemi (förhöjda värden på blodfetter) och leversteatos (fettlever).

Neuropatisk smärta Nervsmärta kan uppstå efter sjukdomar och skador i det somatosensoriska nervsystemet. Somatosensoriska nerver gör att vi kan uppfatta information från omgivningen, t. ex. tryck, temperatur och smärta, samt vår kroppsställning. Termen neuropatisk smärta är vanligtvis förknippad med smärta som kvarstår efter läkning av den initiala skadan.

PCT (Patent Cooperation Treaty), ett internationellt patenträttsligt fördrag, som ingicks 1970. PCT tillhandahåller ett enhetligt förfarande för att lämna in patentansökningar för att skydda uppfinningar i var och en av dess medlemsstater.

Peptid Korta kedjor av aminosyror bundna av peptidbindningar.

PICK1 Ett protein som interagerar med C-kinas 1.

Plasmid Liten, extrakromosomal DNA-molekyl i en cell som är fysiskt separerad från kromosomalt DNA och kan replikera oberoende.

Preklinisk studie In vitro- och in vivo-studier genomförda före den kliniska utvecklingen (se ovan) med målet att säkerställa att den nya terapin är säker och har avsedd effekt.

Proof-of-concept Dokumenterade bevis för att en potentiell produkt eller metod har avsedd effekt.

Svår kronisk smärta Kronisk smärta som ofta begränsar personens liv eller arbetsaktiviteter.

Virala vektorer är verktyg som används för att leverera genetiskt material till celler. Exempel på virala vektorer är lentivirus, adenoassocierat virus (AAV), retrovirus och adenovirus. AAV-vektorer är ofarliga virus som kan infektera mänskliga celler utan att orsaka sjukdom och kan användas för att leverera genetiskt material till mänskliga celler.



CombiGenes vision är att ge patienter som drabbats av svåra sjukdomar möjlighet till ett bättre liv genom genterapi och andra former av avancerade behandlingar. Vår verksamhet har tre fokusområden:

inlicensiering av nya och lovande tillgångar, utveckling av dessa tillgångar till proof-of-concept under vår ledning och expertis samt utlicensiering av tillgångarna till en strategisk partner för fortsatt utveckling och

kommersialisering. Intäkter kommer från milstolpsbetalningar och royalties. Bolaget är publikt och noterat på den svenska marknadsplatsen Nasdaq First North Growth Market. Bolagets Certified Advisor är FNCA Sweden AB.

CombiGene AB (publ)
Agavägen 52A
181 55 Lidingö
info@combigene.com
www.combigene.com