

PRESSMEDDELANDE

11 april 2023

En av *Natures* tidskrifter publicerar artikel om CombiGenes epilepsiprojekt

STOCKHOLM — Den 7 april 2023 publicerade Esbjörn Melin, Industriell post doc på CombiGene, tillsammans med forskare från Lund och Köpenhamns Universitet, den vetenskapliga artikeln ”Combinatorial gene therapy for epilepsy: Gene sequence positioning and AAV serotype influence expression and inhibitory effect on seizures” i tidskriften *Gene Therapy*, som är del av Nature Publishing Group.

Den vetenskapliga artikeln är en sammanställning av de forskningsresultat som producerats inom ramen för den prekliniska utvecklingen av CombiGenes epilepsiprojekt CG01. Dessa data är nu referentgranskade (peer reviewed), vilket innebär att en anonym akademisk expertpanel har bedömt forskningskvalitet, metoder och vetenskapligt nyhetsvärde av artikeln innan den godkännts för publicering.

Artikeln bekräftar att CG01 är en lämplig läkemedelskandidat som ger ett tydligt överuttryck av Neuropeptid Y (NPY) och funktionell aktivitet hos Y2-receptorerna med kramphämmande effekter och minskad frisättning av glutamat i experimentella modeller. Artikeln visar också hur CG01 ökar uttrycket av såväl NPY som Y2 i läkemedelsresistent epileptisk hjärnvävnad som donerats i samband med kirurgiska ingrepp som utförts för att begränsa epileptiska anfall. Resultaten validerar de antiepileptiska egenskaperna av NPY och Y2 receptorn och visar att denna genterapi kan uttryckas i mänsklig hjärnvävnad vilket är en förutsättning för behandlingseffekt i klinik.

”På CombiGene är vi mycket glada över publiceringen i *Gene Therapy* och jag vill ta detta tillfälle i akt att gratulera Esbjörn Melin till ett framgångsrikt vetenskapligt arbete. Detta är också andra gången som *Nature Publishing Group* uppmärksammar CombiGenes arbete. I december 2018 (*Nature* | Vol 564 | 13 December 2018) uppmärksammades CombiGenes verksamhet i en stor artikel som beskrev möjligheterna att använda genterapi för behandling av epilepsi”, säger Karin Agerman, CombiGenes Chief Scientific Officer i en kommentar.

Epilepsiprojektet CG01 utlicensierades till Spark Therapeutics i oktober 2021 i avtal där CombiGene är berättigat att erhålla upp till 328,5 miljoner USD i olika milstolpsbetalningar.

Om CombiGene AB

CombiGenes vision är att erbjuda patienter som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar möjligheter till ett bättre liv genom nyskapande genterapier. CombiGenes affärsidé är att utveckla effektiva genterapier för allvarliga sjukdomar som idag saknar adekvata behandlingsmetoder. Forskningstillgångar tas in från ett nätverk av externa forskare och utvecklas vidare fram till preklinisk/klinisk konceptverifiering. Läkemedelskandidater för vanligt förekommande sjukdomar kommer att samutvecklas och kommersialiseras genom strategiska partnerskap, medan CombiGene kan komma att driva utveckling och kommersialisering i egen regi för läkemedel som vänder sig till begränsade patientpopulationer.

Bolaget har ett exklusivt samarbets- och licensavtal med Spark Therapeutics för CG01-projektet.

Bolaget är publikt och noterat på Nasdaq First North Growth Market och bolagets Certified Advisor är FNCA Sweden AB.



För mer information:

CombiGene AB (publ)

Jan Nilsson, VD

Tel: +46 (0)704 66 31 63

jan.nilsson@combigene.com

Läs "Genevägen", ett nyhetsbrev från CombiGene som innehåller allmänna nyheter och information som bedöms inte ha någon inverkan på aktiekursen. "Genevägen" och pressmeddelanden finns tillgängliga på www.combigene.com