



Q2

Delårsrapport
januari – juni 2024



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 Adviser är FNCA Sweden AB.



CombiGenes CG01-projekt har mottagit finansiering från Europeiska Unionens Horizon 2020 forsknings- och innovationsprogram under grant agreement No 823282.



CombiGenes projekt COZY01 och CGT2 har mottagit finansiering från Eurostars-programmet med samfinansiering från Europeiska unionens forsknings- och innovationsprogram Horisont Europa. Projekt-ID: 4408 respektive 114714.

Sammanfattning av rapporten

Händelser under perioden

- CombiGene har återtagit de globala rättigheterna till epilepsiprojektet CG01 från Spark Therapeutics då uppsägningstiden för samarbets- och licensavtalet mellan de två bolagen har löpt ut.
- CombiGene avslutar den prekliniska utvecklingen av lipodystrofiprojektet CGT2.
- Det danska bolaget Orphazyme har förvärvat 10 procent av aktierna i CombiGene
- CombiGenes epilepsiprojekt CG01 har beviljats patent i två nya länder, Australien och Indien.
- CombiGene inleder ett samarbete med Västra Hamnen Corporate Finance som inkluderar uppdragsanalys, bevakning av nyhetsflöde samt webbkonferenser i samband med CombiGenes kvartalsrapporter. Västra hamnen tar även över som Certified Adviser från och med den 25 augusti 2024.
- Årsstämman 2024 beslutade, i enlighet med aktieägaren Orphazyme A/S förslag, om omval av Jonas Ekblom, Peter Nilsson, Per Lundin, Gunilla Lundmark och Malin Almgren,

samt om nyval av Marcus Isaksson.

- Annika Ericsson, nuvarande Director Preclinical Development, tar över rollen som Chief Scientific Officer efter Karin Agerman som har beslutat sig för att lämna bolaget.
- CombiGene ingår licensavtal med Spark Therapeutics för viss immateriell egendom som utvecklats eller använts av Spark i samband med det tidigare licensavtalet för CG01.

Händelser efter periodens utgång

- CombiGene och Kungliga Tekniska Högskolan (KTH) erhåller anslag från Vinnova om totalt 1 miljon SEK.

Finansiell information

	2024 apr-jun	2023 apr-jun	2024 jan-jun	2023 jan-jun
Nettoomsättning, TSEK	0	1 788	326	3 955
Övriga rörelseintäkter, TSEK	416	1 413	1 458	543
Resultat efter finansiella poster, TSEK	-7 567	-6 286	-21 761	-20 903
Resultat per aktie, SEK	-0,38	-0,32	-1,10	-1,06
Likvida medel vid periodens utgång, TSEK	83 553	115 442	83 553	115 442

Licensavtalet med Spark Therapeutics på plats

En av kvartalets viktigaste händelser var det licensavtal vi ingick med Spark Therapeutics. Vidare utökades samarbetet med Västra Hamnen Corporate Finance genom att de kommer att ta över som Certified Adviser. I slutet av juni publicerade Västra Hamnen även sin initialanalys om CombiGene.

Avtalet med Spark är nu på plats och jag är mycket nöjd. I korthet innebär det att CombiGene får tillgång till data som Spark har, och fortfarande håller på att generera, i epilepsi-projektet CG01. Den sista viktiga studien är planerad att avslutas inom kort och data sammanställas under hösten. CombiGene kommer då att kunna dra nytta av dessa studie-resultat, liksom optimeringen av AAV-vektorn och andra viktiga rättigheter, vilket kommer att underlätta vårt sökande efter en ny samarbetspartner för projektet. Avtalet innebär vidare att CombiGene inte behöver betala några förskotts- eller mil-stolpsersättningar, det vill säga vi kommer inte att belastas med några kostnader förrän den dag då det genereras intäkter från en kommersialiserad produkt.

Utökat samarbete med Västra Hamnen

Som tidigare meddelats inledde vi i mitten av april i år ett samarbete med Västra Hamnen Corporate Finance, som innefattar uppdragsanalys, bevakning av nyhetsflöde och webbkonferenser i samband med våra kvartalsrapporter. I juni beslutade vi att Västra Hamnen från och med den 25 augusti även ska ta över som bolagets Certified Adviser.

Jag ser fram emot möjligheten att nå en bredare målgrupp och är övertygad om att de löpande analyserna kommer att bidra till att skapa ett bättre underlag för värdering av våra projekt och av bolaget. I den initiala analysen, som Västra Hamnen publicerade i slutet av juni, värderades CombiGene till 12,19 SEK per aktie. Detta indikerar tydligt den potential som finns i våra projekt. Vi fokuserar på stora patientgrupper där det

saknas effektiva och hållbara behandlingar och allteftersom projekten fortskrider och risken i projekten minskar kommer värderingen att stiga.

Rättigheterna till CGT2 har återgått till Lipigon

Inlicensierings- och samarbetsavtalet med Lipigon kring lipodystrofi projektet CGT2 har per den 5 augusti avslutats och rättigheterna till projektet återgick då till Lipigon. Under sommaren lämnade bolaget in en slutrapport till Vinnova som nu har godkänts. Det som nu återstår från vår sida är att fullfölja det vetenskapliga arbetet, vilket innefattar att försöka få en eller eventuellt två vetenskapliga artiklar publicerade.

Ny forskningschef

När Karin Agerman, CombiGenes Chief Scientific Officer sedan 2018, beslutade sig för att lämna bolaget för nya utmaningar fanns det redan en mycket god efterträdare i en annan medarbetare, Annika Ericsson, nuvarande Director Preclinical Development. Annika har arbetat i bolaget sedan 2018 och har en gedigen erfarenhet i läkemedelsutveckling av genterapier i preklinisk fas och projektledning. Hon började med att driva den prekliniska testningen av CG01 och har därefter varit projektledare i flera projekt, nu senast för CGT2 och COZY02. Jag ser mycket fram emot att välkomna Annika i ledningsteamet och vårt fortsatta samarbete. Samtidigt tackar jag Karin för de framsteg som hon genom sin kunskap och sitt goda ledarskap har bidragit till under sina år på CombiGene och önskar henne all lycka till i sin nya roll.



Affärsmässigt fokus under 2024

Det affärsmässiga fokus vi satt för bolaget 2024 ligger fast och innebär att under hösten dels hitta en ny partner för epilepsi projektet CG01, dels att söka efter nya intressanta projekt eller akademiska samarbeten för inlicensiering. Arbetet med smärtprogrammet COZY fortskrider parallellt med detta som planerat.

Peter Ekolind
Vd

Planering inför nästa steg i smärtprogrammet COZY

I smärtprogrammet COZY har resultat från flera studier erhållits under kvartalet. Resultaten från studien i mänsklig perifer nervvävnad som erhöles tidigare under året innebär att en viktig milstolpe för både peptiden COZY01 och genterapin COZY02 har passerats och projektet fortsätter enligt plan.

Målprotein bekräftat i mänsklig vävnad

COZY består av två projekt som båda bygger på en ny biologisk verkningsmekanism med samma målprotein, PICK1 (Protein Interacting with C Kinase). Detta målprotein har nu studerats i mänsklig perifer nervvävnad och resultaten bekräftar att PICK1 även finns uttryckt i denna typ av vävnad. Nästa steg är att bekräfta att den interaktion mellan COZY01 och PICK1 som demonstrerats med rekombinant framställt protein även sker med PICK1 i humana vävnadsprover. Arbetet bedrivs med stöd av Eurostars.

Formuleringsutveckling av COZY01

En del av det beviljade Eurostars-anslaget ska även användas för att ta fram en enkel formulering för COZY01 för användning i de första kliniska studierna. Ett förberedande arbete för att undersöka förutsättningarna för att utveckla en mer avancerad formulering, som kan förlänga effekten och minska administrationsfrekvensen av COZY01, ingår också i planen. Det arbetet har nu initierats i samarbete med ett externt företag som har erfarenhet av utveckling av avancerade formuleringar.

Farmakokinetik och säkerhetsprofil COZY01

Vidare har jämförande data för olika djurarter och människa tagits fram för COZY01 avseende stabilitet i plasma, plasma-proteinbindning och levermetabolism. Den farmakokinetiska profilen för COZY01 har bland annat studerats genom subkutana injektioner, som är det planerade administrations sättet

för produkten. Studien gjordes på tre djurarter. Resultaten från studierna på mus och gris visade på ett likvärdigt och högt upptag medan däremot resultaten för råttan avvek. På grund av de avvikande resultaten för råttan, blev beslutet att gå vidare med mus och gris till de planerade toxikologiska studierna. Valet stöds även av resultaten från metabolitstudierna.

Det låga upptaget av COZY01 i råttan innebär att medverkan i PSPP (Preclinical Screening Platform for Pain), ett statligt finansierat program av NIH (National Institutes of Health) i USA, har pausats eftersom endast råttor används i deras beteende- och smärtmodeller. Givetvis kan vi starta kliniska studier utan deltagande i NIH-programmet.

Planering för produktframställning till de toxikologiska studierna fortskrider. En prövning av produkten på människa kommer att genomföras så snart utvärderingen av den prekliniska toxikologiska studien är klar och nödvändiga prövningstillstånd erhållits. Parallellt med dessa aktiviteter pågår ett program för att ta fram alternativa substanser om oönskade eller otillräckliga egenskaper framkommer under den fortsatta utvecklingen av den nuvarande läkemedelskandidaten.

Fortsatt utveckling i COZY02

Utvecklingen av genterapibehandlingen, COZY02, avancerar men är fortfarande i en väldigt tidig fas på vägen emot en valbar läkemedelskandidat.

➤ Cirka 20–25 procent av världens vuxna befolkning lider av någon form av kronisk smärta ◀

LÄS MER

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 (COZY01) och en genterapibehandling (COZY02), där COZY02 uttrycker den aktiva delen av peptiden från COZY01 och har potential för en livslång effekt. Båda behandlingarna bygger på en ny biologisk verkningsmekanism som förväntas sakna de biverkningar som dagens behandlingar ofta ger upphov till.

Smärta 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 drabbas av svår kronisk smärta. Konventionell behandling består främst av antiinflammatoriska läkemedel, antidepressiva medel, kramplösande läkemedel och opioider (en grupp ämnen med en morfinliknande verkningsmekanism).

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.



Samarbetsavtalet med Lipigon har avslutats

I februari sade CombiGene upp inlicensierings- och samarbetsavtalet med Lipigon kring lipodystrofi-projektet CGT2. Rättigheterna till projektet återgick till Lipigon den 5 augusti 2024.

Beslutet att avsluta samarbetsavtalet togs efter att CombiGene under 2023 genomfört ytterligare studier för att göra en korrekt bedömning av projektet. Utvärderingen visade att det inte finns konklusiva data som motiverar en fortsatt utveckling. Beslutet är i linje med CombiGenes strategi för projektutveckling. I dessa planer ingår alltid beslutspunkter om framtid, innan större kostnader börjar belasta projektet. Avvecklingen av CGT2-projektet innebar framför allt att vissa resurser har frigjorts som nu kan nyttjas inom andra aktiviteter.

Lipodystrofiprojektet licensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB den 10 oktober 2019. I februari 2021 tilldelades CombiGene 481 000 EUR av Eurostars för utvecklingen av CGT2-projektet. Projektanslaget omfattade även medel till CombiGenes samarbetspartner University Medical Center Hamburg-Eppendorf och CRO-bolaget Accelero som erhöll 265 000 EUR respektive 136 500 EUR. Anslaget från Eurostars

har gjort det möjligt för CombiGene och dess samarbetspartner att genomföra ett noggrant prekliniskt arbete med utmärkt vetenskaplig höjd.

CombiGene, University Medical Center Hamburg-Eppendorf, University of Michigan samt Stockholms universitet arbetar nu med att, inom ramen för Eurostarsprojektet, slutföra det vetenskapliga arbetet inklusive att försöka publicera de vetenskapliga resultaten under hösten. Eurostars finansieringsperiod avslutades den 30 juni. En slutrapport lämnades till både Vinnova och Eurostars i mitten av juli. Vinnova godkände rapporten kort därefter.

Lipodystrofiprojektet har bidragit till att fördjupa CombiGenes kunskap inom metabola sjukdomar som är ett mycket intressant område för genterapi. Projektet har också inneburit att nätverk av ledande akademiska aktörer stärkts.

› Lipodystrofiprojektet har bidragit till att fördjupa vår kunskap inom metabola sjukdomar som är ett mycket intressant område för genterapi. ‹

LÄS MER



CombiGenes projekt CGT2 har mottagit finansiering från Eurostars-programmet. Projekt-ID: 114714.

CG01 – fortsatt fokus på att hitta ny samarbetspartner

Den 24 juni 2024 ingick CombiGene ett licensavtal med Spark Therapeutics. Att hitta en ny partner som kan ta epilepsiprojektet CG01 till kliniska studier är av högsta prioritet för CombiGene under hösten.

Genom licensavtalet är Spark berättigad till en låg ensiffrig procentsats i royalty på framtida nettoförsäljning av licensierade produkter. Licensavtalet säkerställer att CombiGene kan använda data och uppfinningar och säkrar viktiga rättigheter som kommer att underlätta för CombiGene att hitta en ny partner för epilepsiprojektet. Enligt avtalet kommer CombiGene inte göra några förskotts- eller milstolpsersättningar för licensen.

Vidare kommer CombiGene genom licensavtalet senast i början av Q4, 2024, att få ta del av data som Spark genererat i form av både avslutade och pågående studier.

Under våren beviljade Australien och Indien patent för CG01. Godkännandet stärker projektet, som sedan tidigare har beviljade patent i USA och Ryssland.

Fokus under hösten är att definiera vad som krävs för att skapa ett attraktivt erbjudande för en ny partner. Parallellt med detta har även sökandet efter potentiella partner påbörjats.

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

Epilepsiprojektet CG01

CG01 är en unik genterapikandidat som riktar sig till en stor patientpopulation för att möta ett ouppfyllt behov, där ca en tredjedel av patienterna inte blir anfallsfria trots adekvat läkemedelsbehandling inom epilepsibehandling. Epilepsi är ett stort globalt medicinskt problem med cirka 47 000 läkemedelsresistenta patienter med fokal epilepsi som beräknas tillkomma varje år i USA, EU, Storbritannien, Japan och Kina. CG01 befinner sig i preklinisk fas.

LÄS MER



CombiGenes CG01-projekt har mottagit finansiering från Europeiska Unionens Horizon 2020 forsknings- och innovationsprogram under grant agreement No 823282.

Strategi och affärsutveckling

CombiGene utvecklar banbrytande generapier med ambitionen att kunna erbjuda patienter som drabbas 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 ett större läkemedelsbolag för fortsatt 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 verk samma behandlingar. Det är framför allt dessa sjukdomar som står i fokus för utvecklingen eftersom genterapi har den unika möjligheten att kunna ersätta defekta/saknade gener eller förändra uttrycket av existerande gener. Konkret innebär detta att genterapi i vissa fall kan bota en sjukdom istället för att enbart lindra symptom och att man kan uppnå långvarig effekt av en enda eller ett fåtal behandlingar. Det bedrivs för närvarande cirka 500 kliniska studier inom bland annat centrala nervsystemet, infektionssjukdomar och metabola sjukdomar.

Genterapins kommersiella möjligheter

Genterapi är inte bara ett intressant forskningsfält. Efter att en genterapi godkänts under andra kvartalet 2024 finns det nu drygt tjugo godkända genterapier inom EU och i USA. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA har tidigare meddelat att de räknar med att årligen godkänna 10-20 nya cell- och genterapier från 2025 och framåt. Enligt Precedence Research förväntas den globala marknaden för genterapi växa till 26,9 miljarder USD år 2030.

Omfattande arbete att hitta nya projekt

Fortsatt arbete pågår 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, prekliniska data, tänkt avtalsstruktur, storlek på patientpopulation och medicinskt behov, konkurrenssituation samt projektets kommersiella förutsättningar.

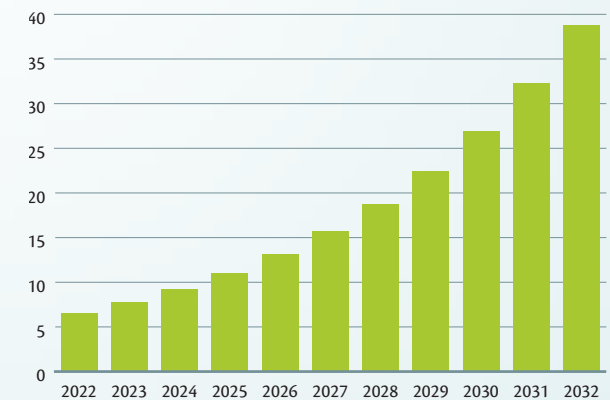
Samtliga kriterier är viktiga och en svaghet i ett av dem, till exempel en oklar immaterialrättsituation, kan innebära att CombiGene väljer att inte gå vidare med projektet.

CombiGene har identifierat ett antal projekt som kan vara relevanta för framtida strategiska samarbeten. Det rör sig bland annat om projekt för sjukdomar inom det centrala nervsystemet och genetiska muskelsjukdomar. CombiGene genomför för närvarande djupare analyser av dessa projekt.

Betydelsen av en utökad portfölj

Utvecklingen under 2023 visade tydligt vikten av att bygga upp en utökad projektportfölj för att öka möjligheterna att nå kommersiella framgångar. Affärsutvecklingen under 2024 har därför två fokusområden: att hitta en ny partner för epilepsiprojektet CG01 och att hitta nya intressanta projekt för inlicensiering och/eller forskningssamarbeten inom akademien.

Förväntad försäljning av genterapier 2022–2032, MUSD



Källa: Precedence Research

Aktien

Antalet aktier vid periodens utgång uppgick till 19 801 197 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.

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 2024-06-30

	Summa innehav	Innehav %
Orphazyme AS	1 986 610	10,03%
Nordqvist, Ivar	1 889 325	9,54%
Avanza Pension	1 191 072	6,02%
M&L Industriförvaltning AB	600 000	3,03%
Nordnet Pensionsförsäkring AB	521 992	2,64%
Thoren Tillväxt AB	494 894	2,50%
Molse, Oliver	450 000	2,27%
Ferstad, Arne	302 000	1,53%
Olsson, Per Magnus	262 491	1,33%
Thomassen Skaar, Christian	262 178	1,32%

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.

CombiGenes aktiebok förs elektroniskt av Euroclear.

Aktienamn: CombiGene
Kortnamn: COMBI
ISIN-kod: SE0016101935

Finansiell information

Intäkter och resultat

Nettoomsättningen består av milstolpsersättningar samt ersättningar från licens- och samarbetsavtal. Under januari-juni 2024 utgörs det av ersättning från Spark Therapeutics avseende löpande kostnader för den prekliniska utvecklingen av CG01. 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 326 (3 955) TSEK under perioden januari-juni. Minskningen förklaras av avslutningen av samarbetsavtalet med Spark. Övriga rörelseintäkter uppgår till 1 458 (543) TSEK varav 548 (0) TSEK avser intäktsfördel av erhållet bidrag från Eurostars gällande COZY01 och 0 (345) avser intäktsfördel av erhållet bidrag gällande CGT2. Övriga rörelseintäkter består även av realiserade och orealiserade valutakursdifferenser. Rörelseresultatet för perioden uppgår till -21 761 (-20 903) TSEK. De huvudsakliga kostnaderna under perioden har hänfört sig till forskning & utveckling, arvoden till konsulter och personalkostnader samt avtalsenlig betalning om 5 miljoner DKK, motsvarande 7,5 miljoner kronor, till Zyneyro.

Kassaflöde och finansiell ställning

Kassaflödet för perioden januari-juni uppgår till -17 796 (-16 470) TSEK. Likvida medel vid periodens utgång uppgår till 83 553 (115 442) TSEK. Soliditeten uppgår till 94,1 (95,3) %.

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 4,8 miljoner kronor hittills har betalats ut. Eurostars-programmet har även tilldelat COZY01-projektet utvecklingsanslag. Det totala anslaget för CombiGene uppgår till 5 miljoner kronor varav 1,3 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 10 (10), 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 BFNAR 2012:1 (K3) vid upprättandet av sina finansiella rapporter. Samma redovisningsprinciper har använts i denna delårsrapport som i den senaste årsredovisningen.

Granskning av revisor

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

Kommande finansiella rapporter

Delårsrapport januari–september 2024	8 november 2024
Bokslutskommuniké 2024	14 februari 2025

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	2024 apr-jun	2023 apr-jun	2024 jan-jun	2023 jan-jun	2023 jan-dec
Rörelsens intäkter					
Nettoomsättning	0	1 788	326	3 955	5 544
Övriga rörelseintäkter	416	1 413	1 458	543	1 464
Rörelsens kostnader					
Övriga externa kostnader	-3 216	-4 778	-14 378	-16 543	-26 835
Personalkostnader	-4 075	-4 060	-7 782	-7 561	-14 868
Övriga rörelsekostnader	0	0	0	0	-1 281
Rörelseresultat före avskrivningar	-6 874	-5 637	-20 376	-19 605	-35 976
Avskrivningar	-693	-649	-1 385	-1 297	-2 624
Rörelseresultat efter avskrivningar	-7 567	-6 286	-21 762	-20 903	-38 600
Finansiellt netto	0	0	1	0	2 935
Resultat efter finansiella poster	-7 567	-6 286	-21 761	-20 903	-35 665
Skatter	0	0	0	0	0
Periodens resultat	-7 567	-6 286	-21 761	-20 903	-35 665
Hänförligt till					
Moderbolagets aktieägare	-7 567	-6 286	-21 761	-20 903	-35 665
Resultat per aktie före utspädning	-0,38	-0,32	-1,10	-1,06	-1,80
Resultat per aktie efter utspädning	-0,38	-0,32	-1,10	-1,06	-1,80
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
Utestående antal aktier	19 801 197	19 801 197	19 801 197	19 801 197	19 801 197

Koncernens balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2024 30 jun	2023 30 jun	2023 31 dec
TILLGÅNGAR			
Anläggningstillgångar			
Immateriella anläggningstillgångar	15 220	17 815	16 518
Materiella anläggningstillgångar	763	0	851
Finansiella anläggningstillgångar	5	5	5
Summa anläggningstillgångar	15 988	17 820	17 373
Omsättningstillgångar			
Kundfordringar	0	1 032	0
Övriga fordringar	1 111	3 344	1 799
Likvida medel	83 553	115 442	101 440
Summa omsättningstillgångar	84 664	119 818	103 239
SUMMA TILLGÅNGAR	100 652	137 638	120 612
SKULDER OCH EGET KAPITAL			
Aktiekapital	990	990	990
Övrigt tillskjutet kapital	224 124	224 124	224 124
Annat eget kapital	-108 657	-72 992	-72 992
Periodens resultat	-21 761	-20 903	-35 665
Eget kapital hänförligt till moderbolagets aktieägare	94 696	131 220	116 457
Summa eget kapital	94 696	131 220	116 457
SKULDER			
Kortfristiga skulder	5 957	6 419	4 156
Summa skulder	5 957	6 419	4 156
SUMMA EGET KAPITAL OCH SKULDER	100 652	137 638	120 612

Rapport i sammandrag över koncernens förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktiekapital	Annat tillskjutet kapital	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	990	224 124	-108 657	116 457
Periodens resultat			-21 761	-21 761
Belopp vid periodens utgång	990	224 124	-130 418	94 696

Koncernens kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2024 jan-jun	2023 jan-jun	2023 jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-17 796	-16 356	-30 557
Kassaflöde från investeringsverksamheten	0	-114	-994
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	0	0	0
Periodens kassaflöde	-17 796	-16 470	-31 551
Likvida medel vid periodens början	101 440	131 777	131 777
Valutakursdifferens i likvida medel	-90	135	1 213
Likvida medel vid periodens slut	83 553	115 442	101 440

Nyckeltal för koncernen

	2024 jan-jun	2023 jan-jun	2023 jan-dec
Resultat per aktie före utspädning, kr	-1,10	-1,06	-1,80
Resultat per aktie efter utspädning, kr	-1,10	-1,06	-1,80
Eget kapital per aktie, kr	4,78	6,63	5,88
Soliditet, %	94,08	95,34	96,55
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
<i>Utestående antal aktier</i>	<i>19 801 197</i>	<i>19 801 197</i>	<i>19 801 197</i>

Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2024 apr-jun	2023 apr-jun	2024 jan-jun	2023 jan-jun	2023 jan-dec
Rörelsens intäkter					
Nettoomsättning	0	1 788	326	3 955	5 544
Övriga rörelseintäkter	416	1 424	1 468	556	1 464
Rörelsens kostnader					
Övriga externa kostnader	-3 214	-4 778	-14 358	-16 525	-26 782
Personalkostnader	-4 075	-4 060	-7 782	-7 561	-14 868
Övriga rörelsekostnader	0	0	0	0	-1 280
Rörelseresultat	-6 872	-5 626	-20 347	-19 574	-35 922
Avskrivningar	-119	-75	-238	-150	-329
Rörelseresultat efter avskrivningar	-6 991	-5 701	-20 585	-19 724	-36 252
Finansiellt netto	-574	-574	-1 147	-1 147	639
Resultat efter finansiella poster	-7 565	-6 275	-21 732	-20 871	-35 613
Skatter	0	0	0	0	0
Periodens resultat	-7 565	-6 275	-21 732	-20 871	-35 613

Moderbolagets balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2024 30 jun	2023 30 jun	2023 31 dec
TILLGÅNGAR			
Anläggningstillgångar			
Immateriella anläggningstillgångar	3 746	4 046	3 896
Materiella anläggningstillgångar	763	0	851
Finansiella anläggningstillgångar	15 761	18 056	16 908
Summa anläggningstillgångar	20 270	22 102	21 655
Omsättningstillgångar			
Kundfordringar	0	1 032	0
Övriga fordringar	1 344	3 512	2 006
Likvida medel	83 351	115 251	101 235
Summa omsättningstillgångar	84 696	119 795	103 241
SUMMA TILLGÅNGAR	104 965	141 897	124 896
SKULDER OCH EGET KAPITAL			
Bundet eget kapital			
Aktiekapital	990	990	990
Reservfond	4	4	4
Fond för utvecklingskostnader	868	868	868
Fritt eget kapital			
Överkursfond	165 826	165 826	165 826
Balanserad förlust inklusive periodens resultat	-68 634	-32 161	-46 902
Summa eget kapital	99 054	135 527	120 786
SKULDER			
Kortfristiga skulder	5 912	6 370	4 111
Summa skulder	5 912	6 370	4 111
SUMMA EGET KAPITAL OCH SKULDER	104 965	141 897	124 896

Rapport i sammandrag över moderbolagets förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktiekapital	Reservfond	Fond för utvecklingsutgifter	Överkursfond	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	990	4	868	165 826	-46 902	120 786
Periodens resultat					-21 732	-21 732
Belopp vid periodens utgång	990	4	868	165 826	-68 634	99 054

Moderbolagets kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2024 jan-jun	2023 jan-jun	2023 jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-17 794	-16 354	-30 568
Kassaflöde från investeringsverksamheten	0	-114	-994
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	0	0	0
Periodens kassaflöde	-17 794	-16 467	-31 561
Likvida medel vid periodens början	101 235	131 583	131 583
Valutakursdifferens i likvida medel	-90	135	1 213
Likvida medel vid periodens slut	83 351	115 251	101 235

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

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 23 augusti 2024

Jonas Ekblom
Ordförande

Malin Almgren
Ledamot

Gunilla Lundmark
Ledamot

Per Lundin
Ledamot

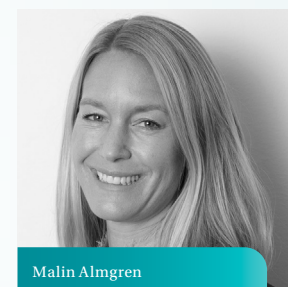
Marcus Isaksson
Ledamot

Peter Nilsson
Ledamot

Peter Ekolind
Vd



Jonas Ekblom



Malin Almgren



Gunilla Lundmark



Per Lundin



Marcus Isaksson



Peter Nilsson



Peter Ekolind

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 proteinkinasenzymer som är involverade i att kontrollera funktionen hos andra proteiner genom fosorylering 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 blodfetttriglycerid) och leversteatos (fettlever).

Neuronal vävnad är den typ av vävnad som består av nervceller, även kallade neuroner, och deras stödjeceller. Denna vävnad finns främst i hjärnan, ryggmärgen och nervsystemet.

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.

Viral vektorer är verktyg som används för att leverera genetiskt material till celler. Exempel på viral 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.



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