

# GENEVÄGGEN

NYHETER FRÅN COMBIGENE AB

NUMMER 2:3 • 2022

2:1

2:2

2:3

## Välkommen till specialnummer 3 av 3

CombiGene har sedan avtalet med Spark Therapeutics stärkt sina positioner inom en rad områden, inte minst finansiellt. Bolaget söker nu aktivt efter ytterligare genterapitillgångar för inlicensiering och värdeskapande preklinisk utveckling.

För att uppmärksamma vår nya position har vi bestämt att i rask takt ge ut tre nummer av Genevägen för att ge fördjupad bild av några av de områden som är viktiga för oss.

Jag hoppas att ni kommer att tycka att det är en trevlig läsning.

Jan Nilsson,  
Vd



## Stor intervju med Bert Junno, CombiGenes styrelseordförande

### Bert Junno

Styrelseordförande sedan 2020  
Födelseår: 1966

Utbildning och erfarenhet: Bert har erfarenhet av företagsledning och styrelsearbete för ett flertal bolag verksamma inom elektronik, bioteknik och IT i både Europa och USA. Han har tillsammans med andra grundat flera bioteknikbolag som WntResearch AB, Galecto Biotech AB, Gabather AB, Aptahem AB och Cyxone AB. Bert Junno har en Ph.D. i fysik och teknik för halvledare och M.Sc. i fysik från Lunds universitet.

Övriga styrelseuppdrag: Styrelseordförande i Cyxone AB (publ), Aptahem AB (publ), Melius Pharma AB (publ). Styrelseledamot i Gabather AB (publ), Fornio AB och Accequa AB.

Tidigare styrelseuppdrag/övriga befattningar: Styrelseledamot i Taurus Energy AB (publ), Cardiovox llc., Galecto Biotech AB, Aptahem AB (publ), VD och styrelseledamot WntResearch AB (publ) och Gabather AB (publ). Ledamot av PRVs insynsråd 2010-2019.

### Låt oss börja denna intervju med en helt öppen fråga. Vad vill du allra helst prata om?

Jag vill gärna prata om avtalet med Spark Therapeutics eftersom det i ett slag stärkte CombiGene i så många dimensioner. Spark Therapeutics ingår i Roche-koncernen, världens tredje största läkemedelskoncern. Man kan därmed säga att CombiGene i och med avtalet med Spark tog ett jättekliv rakt in i läkemedelsindustrins finrum och vi har nu en partner med de allra bästa förutsättningarna att ta vårt epilepsiprojekt CG01 hela vägen genom kliniska studier och vidare till marknadsgodkännande. Att Spark har denna förmåga visas bland annat av att de var blott det andra bolaget någonsin som fick FDA-godkännande för en genterapi, nämligen Luxturna 2017. Vårt epilepsiprojekt kunde därmed inte vara i bättre händer. Med detta sagt måste man förstå att vägen fram till marknads-godkännande fortfarande är lång. Vi arbetar nu tillsammans med Spark för att slutföra de återstående delarna av det prekliniska programmet. För att skapa de allra bästa förutsättningarna för att få ett så kallat IND-godkännande av FDA, det vill säga godkännande för att inleda studier i människa, har Spark i kraft av sina betydande resurser och omfattande erfarenhet beslutat att expandera vissa delar av det prekliniska programmet. Jag ser detta som något mycket positivt.

### Hur ser de finansiella aspekterna av avtalet med Spark ut?

Det potentiella värdet av avtalet uppgår till 328,5 miljoner USD i olika milstolpsättningar. Även om detta är en verkligt betydande summa ser jag de framtida royalty-betalningarna som avtalets verkliga uppsida. Till skillnad från många andra genterapier som ofta utvecklas för behandling av sällsynta sjukdomar, riktar sig CG01-projektet till en mycket betydande patientpopulation. Det finns uppskattningsvis 50 miljoner epilepsipatienter i världen och en tredjedel av dem uppnår inte anfallsfrihet med dagens behandlingar. Det är denna senare kategori av patienter som CG01 vänder sig till.

### Vilka andra aspekter av avtalet skulle du vilja lyfta fram?

Avtalet med Spark har också tagit bort den finansiella osäkerhet som tidigare fanns för CG01-projektet. CombiGene har inte resurser att på egen hand driva ett projekt som CG01 genom hela det kliniska programmet och vidare till marknad. Med Spark som partner är nu finansieringen inga bekymmer; Spark tar alla kostnader för de avslutande delarna av det prekliniska programmet och kommer att ta alla kostnader för det kliniska programmet. Detta, tillsammans med den initiala betalning om 8,5 miljoner USD som CombiGene fick i samband med avtalets tecknande, gör att vi nu befinner oss i en gynnsam finansiell situation med god kassa och minskade utgifter. Våra möjligheter att ta in ytterligare projekt har därmed förbättrats på ett mycket markant sätt.

### Har avtalet med Spark förändrat omvärldens syn på CombiGene?

Absolut! Som direkt följd av avtalet med Spark ser vi ett växande intresse för CombiGene från en rad olika aktörer. Som exempel kan nämnas att CombiGene kommer att ingå i GeneNova-samarbetet, ett initiativ för att utveckla AAV-baserade genterapier i Sverige. GeneNova-samarbetet stöds av Sveriges Innovationsmyndighet Vinnova och partnerbolagen med drygt 110 MSEK i total budget för åren 2021-2026. Projektet leds av professor Johan Rockberg vid KTH och bland aktörerna återfinns utöver CombiGene ett flertal välrenommerade aktörer. Anledningen till det växande intresset för vårt bolag är uppenbar: avtalet med Spark har validerat både vår teknologi och vår affärsmodell och pekar därmed tydligt mot stora framtida möjligheter för CombiGene att expandera ytterligare och därmed skapa stora medicinska och finansiella världen.

### Hur skulle du beskriva det utvecklingsarbete som CombiGene genomfört inom ramen för CG01-projektet?

Det är en mycket intressant fråga där jag vill lyfta en aspekt på CombiGenes arbete som enligt mig inte uppmärksammats tillräckligt och som säger mycket om den kompetens som byggts upp inom bolaget. Ett traditionellt läkemedelsbolag kan i sin utveckling i princip fokusera på en enda sak: sina läkemedelskandidater. CombiGenes epilepsiprojekt CG01 är mycket mer komplext. Utöver de aktiva substanserna i CG01, dvs neuro-peptid Y (NPY) och dess receptor Y2, har CombiGene integrerat de verksamma substanserna i den virusvektor som används för att 'transportera' NPY och Y2 in i den mänskliga cellen. CombiGene har också tillsammans med sina partners tagit fram en teknik för att injicera CG01 in i det område av den mänskliga hjärnan som ska behandlas. Sammantaget gör detta CG01 till mycket komplext projekt och jag är verkligen imponerad över hur bolaget har lyckats lösa alla utmaningar för att få fram en fungerande helhet. CG01 har därmed också genererat mycket kunskap som CombiGene kan ta med sig in i nya projekt.

### Hur ser du på CombiGenes fortsatta utveckling?

CombiGene befinner sig nu i en mycket fördelaktig position. Avtalet med Spark har förbättrat vår finansiella situation samtidigt som det på ett alldeles fantastiskt sätt stärkt bolagets varumärke inom den internationella läkemedelsbranschen. Vi är nu ett bolag som samarbetar med Spark Therapeutics, Roche-koncernens högt specialiserade genterapibolag. Jag ser nu fram emot en utveckling där vi utöver fortsatta framsteg inom CG01- och CGT2-projekten också tar in nya genterapi-tillgångar för värdeskapande utveckling och på sikt tecknar nya avtal som ligger i linje med vårt avtal med Spark. För mig har CombiGenes spännande resa bara börjat!

#### GENEVÄGEN REDAKTION

Redaktion:  
redaktionen@combigene.com  
Ansvarig utgivare: Jan Nilsson

Produktion:  
Form: WibergComm from Scratch  
Text: Columbi Communications AB

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

*Bolaget är publikt och noterat på  
Nasdaq First North Growth Market.  
www.combigene.com*

## Utvecklingen av ett läkemedel, steg för steg

● **Läkemedelsutveckling är strikt reglerad verksamhet för att säkerställa att de läkemedel som slutligen får marknadsgodkännande är säkra att använda och har avsedd effekt för de sjukdomar de ska behandla. Att utveckla nya läkemedel är en omfattande och tidskrävande process där kostnaderna stiger efterhand som projektet fortskrider.**

Utvecklingen av ett nytt läkemedel kan delas in i olika stadier: upptäckt/grundforskning, preklinisk utveckling och klinisk utveckling. I upptäcktsfasen utgår forskningen från en grundläggande idé om hur en sjukdom kan angripas. Under den prekliniska utvecklingen är målet att på experimentell väg utvärdera om den eller de läkemedelskandidater man tagit fram har förutsättningar att skapa den effekt man vill uppnå. När man valt den läkemedelskandidat man vill gå vidare med genomförs en rad prekliniska studier avseende effekt, biodistribution och toxicologi. Dessa studier genomförs initialt i mindre djur och ibland även i större djur. Först därefter, när man i djurförsöken visat att läkemedelskandidaten har avsedd effekt och uppfyller säkerhetskrav avseende biodistribution och toxicologi, kan man gå vidare med studier i människa, så kallade kliniska studier.

### För läkemedel generellt så delas den kliniska utvecklingen in i fyra faser:

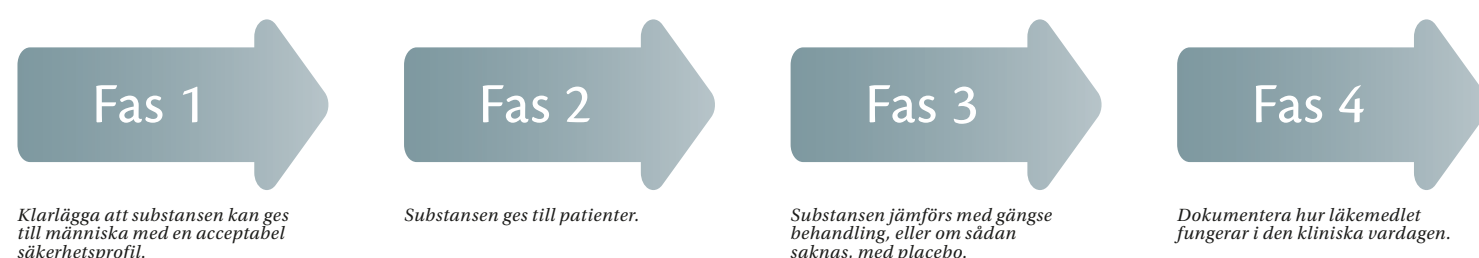
**Fas 1:** Studie i syfte att klarlägga att substansen kan ges till människa med en acceptabel säkerhetsprofil. Man definierar också de doser som ska ges och hur substansen tas upp, hur den fördelas i kroppen, om den bryts ned och hur den utsöndras ur kroppen.

**Fas 2:** Substansen ges till patienter som lider av den sjukdom man vill behandla i syfte att visa att den har den effekt som man har postulerat. Man söker också finna en optimal dos och självklart fortsätter man att dokumentera säkerhet och tolerabilitet.

**Fas 3:** Stor studie i vilka substansen jämförs med gängse behandling, eller om sådan saknas, med placebo. Syftet är att visa substansens effekt jämfört med den behandling som används idag. Om produkten har likvärdig eller bättre effekt sker en vidare utveckling. Det kan även finnas andra vinster än en bättre effekt som motiverar en fortsatt utveckling, till exempel mindre biverkningar, överlägsen dosering, lägre pris med mera.

Parallellt görs en hel rad andra studier avseende säkerhet, påverkan på andra läkemedel, beredningsformer etc. Efter de kliniska studierna görs en sammanställning av dokumentationen i en registreringsansökan som lämnas in till myndigheter i aktuella länder.

**Fas 4:** Efter godkännande görs så kallade fas 4-studier för att dokumentera hur läkemedlet fungerar i den kliniska vardagen. Ibland villkorar myndigheten ett godkännande med att företaget inom en given tid måste generera viss specificerad kunskap om läkemedlet, något som fas 4-studier ofta används för.



# CombiGene bygger för framtiden

Så sent som våren 2018 hade CombiGene, utöver viss administrationskapacitet, endast två anställda: vd Jan Nilsson och då nyrekryterade Chief Research & Development Officer Karin Agerman. Bolaget hade ett projekt, epilepsiprojektet CG01 som befann sig i tidig preklinisk utveckling. Sedan dess har bolaget genomgått en snabb utveckling. Den första stora milstolpen inträffade när Horizon 2020, EU:s ramprogram för forskning och utveckling, satsade 3,36 miljoner euro på fortsatt utveckling och kommersialisering av genterapiprojekt CG01. Epilepsiprojektet utvecklades därefter i snabb takt, en utveckling som kröntes med utlicensieringen till Spark Therapeutics hösten 2021.

I oktober 2019 inlicensierade CombiGene lipodystrofi projektet CGT2 och bolaget fokuserar för närvarande på att hitta ytterligare projekt för inlicensiering. I takt med att de båda projekten avancerat har CombiGene stärkt sitt kunnande och sin kapacitet inom centrala områden. Utöver Jan Nilsson och Karin Agerman består CombiGene-teamet som är redo att möta framtiden nu av följande personer:



**Annika Ericsson**

**Projektledare preklinisk sedan 2018. (född 1974)**

Annika har en PhD från Karolinska Institutet inom medicinsk biokemi med en avhandling inom enzym- och genterapi för akut intermitterent porfyri. Hon har post-doktoral erfarenhet från Mount Sinai School of Medicine i New York, USA och 17 års erfarenhet från bioteknik branschen efter att ha arbetat på Zymenex A/S och Chiesi. Där har hon arbetat laborativt med utveckling och uppskalning av produktionsprocesser för proteinläkemedel samt varit projektledare för prekliniska studier inom olika lysosomala sjukdomar. Annika har stor vana vid att planera, organisera och styra forskningsprojekt.



**Daniela Morath**

**Administratör sedan 2018. (född 1980)**

Daniela har läst ett specialutformat naturtekniskt program och har en yrkeshögskoleexamen som 3D-printing specialist. Hon har flera års erfarenhet av administrativa uppgifter inom olika branscher och har även arbetat ett par år med ekonomi och lönehäntering. Daniela har arbetat både hos större företag inom industrisektorn och mindre bolag som arbetat med service vilket gör att hon har erfarenhet av olika administrativa processer.



**Louise Aspenberg**

**Ekonomichef sedan 2020. (född 1976)**

Louise har gått det internationella ekonomiprogrammet vid Örebro Universitet. Louise är en erfaren ekonom med bred erfarenhet från finansiella och ekonomiska arbetsuppgifter. Louise har bland annat arbetat på Relation & Brand som under åren 2006-2013 var listad på Aktietorget (nuvarande Spotlight Stock Market). Louise har en gedigen kunskap inom concernredovisning och ekonomisk rapportering för publika bolag.



**Martin Linhult**

**Projektledare CMC (Chemistry, Manufacturing and Control) sedan 2020. (född 1972)**

Martin har doktorerat inom molekylärbiologi vid KTH i Stockholm (1998-2003) och har en Master of Chemical Engineering från samma lärosäte. Därutöver har Martin en gedigen erfarenhet från ett antal seniora positioner inom svensk läkemedelsindustri och är van vid att interagera med regulatoriska myndigheter på internationell nivå, bland annat FDA och EMA. Martin har arbetat inom alla delar av produktionen av biologiska läkemedel och var ansvarig för att bygga upp produktionsenheten på Octapharma.



**Pernilla Fagergren**

**Projektledare klinik sedan 2021. (född 1970)**

Pernilla har bred erfarenhet från akademi och industri. Hon har doktorerat vid Karolinska Institutet i Stockholm och har bedrivit forskning vid Mount Sinai School of Medicine i New York, USA. Pernilla kommer närmast från Merck AB där hon arbetat som medicinsk rådgivare och manager inom neurologi. Hon arbetade dessförinnan som forskare med tidiga läkemedelsprojekt på Karo Bio AB. Hennes expertis omfattar centrala områden som läkemedelsutveckling, projektledning och neurofarmakologi. Pernilla har i sin yrkeskarriär, genomgående samarbetat med läkare och ledande medicinska opinionsbildare både nationellt och internationellt.



**Esbjörn Melin**

**Industriell post doc sedan 2021. (född 1987)**

Esbjörn har en doktorsexamen inom området genterapeutisk behandling av epilepsi vid Lunds universitet (2014-2020) och har en civilingenjörsexamen i teknisk nanovetenskap från Lunds Tekniska Högskola (LTH). Som doktorand arbetade Esbjörn i nära samarbete med professor Merab Kokaia, en av CombiGenes vetenskapliga grundare och har även varit medförfattare till flera vetenskapliga artiklar inom området genterapeutisk behandling av epilepsi.



**Alvar Gröndal**

**Senior Project Manager sedan 2022. (född 1955)**

Alvar Gröndal är doktor i medicinsk vetenskap, Karolinska Institutet, Stockholm, och har stor erfarenhet av flera sjukdomsområden bl. a. metabola sjukdomar och sällsynta sjukdomar. Alvars erfarenhet sträcker sig från tidig preklinisk utveckling till kliniska prövningar från sitt arbete inom akademi och industri. Han har bland annat arbetat vid National Cancer Institute, USA, Karolinska Institutet, Pharmacia/Biovitrum och under senare åren varit aktiv in om biotechbolag som Lipopeptide AB/Pergamum AB och NeuroVive Pharmaceutical AB/Abliva AB.

## Hur arbetar CombiGene med sin kommunikation?

● *Kommunikationen med aktieägare är viktig för alla börsnoterade bolag. Genevägen kontaktade Jan Nilsson för att prata om hur CombiGene arbetar med sin kommunikation och om genterapibranschen i sig innebär några särskilda utmaningar.*

### Hur vill du beskriva landskapet som CombiGene befinner sig i?

CombiGene är verksamt inom det dynamiska genterapiområdet. Genterapi är en mycket ung behandlingsform. I USA kom det första marknadsgodkännandet så sent som i augusti 2017 då FDA godkände Kymriah från Novartis för behandling av akut lymfatisk leukemi. I december samma år godkändes Luxturna från Spark Therapeutics för behandling av en ovanlig genetisk ögonsjukdom. Spark, som är vår samarbetspartner inom epilepsiprojektet CG01, var därmed det andra bolaget någonsin som fick en genterapi godkänd för den amerikanska marknaden, vilket inom parentes sagt ger en antydning om vilken fantastisk partner vi fått för detta projekt.

Att befinna sig i en så dynamisk och så ung del av den internationella läkemedelsindustrin är naturligtvis oerhört spännande och stimulerande. Mycket av det CombiGene gör, görs för första gången. I takt med att vi bryter ny mark ställs vi ibland också inför oförutsedda utmaningar, vilket innebär att det inte alltid går att förutsäga hur lång tid enskilda moment i våra projekt kommer att ta i anspråk. Flera element i CombiGenes utvecklingsprojekt är också nya och experimentella och vi är beroende av kapaciteten hos våra partners.

### Hur påverkar detta CombiGenes kommunikation?

Det har ingen omedelbar påverkan på sättet vi kommunicerar, men det är ett viktigt perspektiv att ha med sig.

CombiGene lägger stor vikt vid att löpande kommunicera med marknaden. Vår kommunikation styrs först och främst av börsens regelverk, vilket innebär att alla investerare får tillgång till samma information samtidigt.

Jag vill också understryka att vad gäller CG01 så är det ett projekt som vi utlicensierat till Spark Therapeutics, vilket innebär att det är Spark som ytterst avgör vad som kommuniceras och när.

För våra 'egna' projekt är vi måna om att vår kommunikation fokuserar på materiella upplysningar. Som en konsekvens av detta informerar vi marknaden när en ny viktig studie påbörjas och när samma studie avslutas

samt de väsentliga resultat som studien givit vid handen. Vi har beslutat att inte rapportera interimresultat från våra studier eftersom denna typ av information till sin natur är ofullständig och inte fullt ut analyserad.

Vi har under det senaste året haft ett fåtal studier som tagit längre tid att slutföra än vad vi ursprungligen hade anledning att tro. Med tanke på att CombiGene, som jag tidigare nämnde, befinner sig i en ung och dynamisk del av läkemedelsmarknaden där vi och våra samarbetspartners kontinuerligt bryter ny mark, är detta inget som förvånar.

### Hur kommunicerar CombiGene?

Vi kommunicerar på flera olika sätt. I våra pressmeddelanden och finansiella rapporter presenterar vi löpande information om våra projekt och vår finansiella situation. Vi finns också på sociala media som LinkedIn, Facebook och Twitter. Vi deltar även vid olika typer av event för att presentera bolagets framsteg och möjligheter. Jag rekommenderar också läsning av vårt nyhetsbrev Genevägen, som också finns på vår hemsida och som man i likhet med våra pressmeddelanden kan prenumerera på.

### Avslutningsvis, hur ser du på den fortsatta utvecklingen för CombiGene?

Ur mitt perspektiv befinner sig CombiGene fortfarande i början av en potentiellt mycket spännande utveckling. Vi förväntar oss att branschen som vi ingår i kommer utveckla många nya genterapiprodukter under de närmaste åren. Vad gäller vårt epilepsiprojekt CG01 så har Spark Therapeutics ett omfattande kunnande, finansiella muskler och en målsättning att ta kandidaten hela vägen till marknad. Under tiden ser jag ett scenario där vi förhoppningsvis kan kommunicera nyheter som kan intressera marknaden och som inte nödvändigtvis är kopplat till huvudkandidaten CG01. Genterapier har en enorm inneboende potential och mitt är mål att CombiGene skall vara en av de främsta drivande krafterna när denna potential omsätts till mätbar patientnytta och nya innovativa behandlingsmetoder.

TEMA EPILEPSIPROJEKTET CG01



Liz Ramsburg, Ph.D. och chef för CNS-forskningen på Spark Therapeutics kommenterar samarbetet med CombiGene

● Hösten 2021 slöt CombiGene ett samarbets- och licensavtal med Spark Therapeutics. Enligt avtalet är CombiGene berättigat att erhålla upp till 328,5 miljoner USD exklusive royalties med 8,5 miljoner USD vid undertecknandet och upp till 50 miljoner USD vid prekliniska och kliniska milstolpar. Vid kommersialisering är CombiGene berättigat till stegvis ökande royalties upp till låga tvåsiffriga tal baserat på nettoomsättning.

CombiGene och Spark Therapeutics driver nu gemensamt de avslutande delarna av den prekliniska utvecklingen. Liz Ramsburg, chef för CNS-forskningen på Spark, kommenterar samarbetet så här:

”Vi på Spark är väldigt glada över att få möjligheten att samarbeta med CombiGene för att utveckla CG01 för läkemedelsresistent fokal epilepsi. CNS-teamet på Spark fick först kunskap om CombiGenes program genom David Woldbye och Merab Kokaias publikationer som beskriver effekterna av vektoriserade NPY och Y2R i epilepsimodeller med gnagare och blev omedelbart entusiastiska över det innovativa tillvägagångssättet och de högkvalitativa data som presenterades.”

”Vi tycker att det är fantastiskt att kunna utveckla en potentiell ny terapi inom ett område med stora medicinska behov. Många epilepsipatienter uppnår inte adekvat anfallsfrihet med anti-epileptiska läkemedel, och genterapier som CG01 har potential att hjälpa dessa patienter med en engångsbehandling som kan erbjuda en relativt sett lägre risk för biverkningar jämfört med kirurgiska ingrepp.”

”På Spark säger vi alltid att vi ”inte följer spåren, vi skapar vägen” för att utveckla transformativa läkemedel för patienter. Vi ser att våra kollegor på CombiGene delar denna övertygelse och att vi tillsammans har en helt unik möjlighet att kombinera vår vetenskapliga och tekniska kunskap för att möta ett globalt behov inom epilepsibehandling. Jag är entusiastisk över vårt samarbete för att erbjuda patienter en bättre vård.”

CombiGenes Chief Research and Development Officer Karin Agerman utvecklar sin tankar om samarbetet med Spark:

”Vi har nu arbetat tillsammans med Spark sedan hösten 2021 och jag är mycket imponerad över den kunskap och de resurser som Spark besitter. Spark var ett av de första bolagen som fick marknadsgodkännande för en genterapi USA. Vi har med andra ord en partner som behärskar alla delarna i ett genterapiprojekt.”



**Avtalet med Spark har ett potentiellt värde om 328,5 miljoner USD**

Avtalet ger Spark den exklusiva globala licensen att utveckla, tillverka och kommersialisera CG01. CombiGene kommer att fortsätta att genomföra vissa delar av det prekliniska programmet i samarbete med Spark. Enligt avtalsvillkoren är CombiGene berättigat att erhålla upp till 328,5 miljoner USD exklusive royalties med 8,5 miljoner USD vid undertecknandet och upp till 50 miljoner USD vid prekliniska och kliniska milstolpar. CombiGene kommer också att ersättas för överenskomna utvecklingskostnader. Vid kommersialisering är CombiGene berättigat till stegvis ökande royalties upp till låga tvåsiffriga tal baserat på nettoomsättning.

TEMA LIPODYSTROFIprojektet CGT2

## Viktigt samarbete med University of Michigan Medical School

CombiGene arbetar sedan början av 2022 med professor Ormond MacDougald vid University of Michigan Medical School för att utvärdera lipodystrofi projektets mest lovande genterapikandidat. Professor Ormond MacDougalds experimentella modell har flera egenskaper som liknar partiell lipodystrofi hos människor, den sjukdom som CombiGene avser att behandla med sin CGT2-terapi.

Professor MacDougald och hans kliniska samarbetspartner, Dr. Elif Oral, har ett helt team som arbetar inom lipodystrofiområdet och deras omfattande kunskap och tekniska expertis kommer att gynna CombiGenes CGT2-projekt. MacDougald Lab är ett ledande forsknings-

labb inom fettvävnadsbiologi. University of Michigan Metabolism, Diabetes and Endocrinology Division har dykt upp som ledande inom behandling av lipodystrofi syndrom på grund av Dr. Orals långvariga kliniska intressen i detta område.

”Jag är mycket glad över att CombiGene har tecknat detta avtal med professor MacDougald”, säger Annika Ericsson, Preclinical Project Manager på CombiGene. ”Professor MacDougald och hans team har exakt den kunskap och den experimentella modell som vi behöver för att utvärdera vår ledande kandidat i lipodystrofi projektet.”



## Intervju med Jonas Ekblom i CombiGenes styrelse

### Berätta lite om dig själv och din bakgrund och när du valdes som ledamot i CombiGenes styrelse!

Jag har en vetenskaplig utbildning och är docent i farmakologi vid Uppsala universitet med ett fokus på neurofarmakologi. Jag har jobbat i 25 år i läkemedels- och bioteknikbranschen, med ett fokus under de senaste 15 åren på små innovationsbolag. Jag valdes in i styrelsen i CombiGene 2020.

### Vilka är de viktigaste milstolparna i företagets utveckling som du ser det?

De tre viktigaste händelserna i bolaget är enligt min uppfattning, (1) den farmakodynamiska valideringen av principmekanismen för CG01, (2) samarbetsavtalet med Viralgen, som resulterat i en robust och skalbar tillverkningsprocess för CG01, samt givetvis (3) licensavtalet med Spark.

### Vad betyder avtalet med Spark för CombiGene som bolag?

Avtalet med Spark har betydelse på flera nivåer; (1) det innebär ett kassatillskott och en stor potentiell framtida "uppsida" om projektet utvecklas hela vägen till marknaden, (2) affären ger oss en stark extern validering av kvaliteten på våra FoU-initiativ, och (3) affären ger oss också god PR - vi har fångat uppmärksamheten hos andra aktörer i branschen som tidigare inte känt till CombiGene.

### Hur tror du att CombiGene kommer att utvecklas under de närmaste tre till fem åren?

Vi behöver fortsätta att bedriva CG01-projektet framåt tillsammans med Spark till dess att de övertar hela ansvaret, samtidigt som vi avser att bygga en liten pipeline av efterföljarprojekt, med CGT2 i spetsen. Vi har nu byggt en bas av kompetens och ett värdenätverk som vi avser att återanvända.



# Om CombiGene

● *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 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, +46 (0)852 80 03 99, [info@fnca.se](mailto:info@fnca.se).*



 **combiGene**  
The gene therapy explorer

*CombiGenes vision är att ge patienter som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar möjlighet till ett bättre liv genom nya genterapier.*

[www.combigene.com](http://www.combigene.com)