

PRESSMEDDELANDE

18 mars 2021

CG01-projektet uppnår viktig milstolpe

Inleder prekliniska biodistributions- och toxikologistudier

CombiGenes epilepsiprojekt CG01 avancerar nu till slutfasen av det prekliniska programmet. Efter det att materialet från den första storskaliga produktionen av CG01 frisläppts den 1 mars inleder CombiGene nu de viktiga prekliniska studierna inom biodistribution och toxikologi, två hörnstenar i den avslutande prekliniska fasen, och planerar för att inleda den första studien i människa under 2022.

CombiGene inleder nu de viktiga prekliniska studierna inom biodistribution och toxikologi (säkerhet) tillsammans med CRO-bolaget *Northern Biomedical Research* (NBR). NBR är specialiserade på prekliniska studier i centrala nervsystemet (CNS) och har lång erfarenhet av att administrera genterapivektorer. Bolaget arbetar enligt GLP (Good Laboratory Practice) och har stor vana att arbeta med företag som förser regulatoriska myndigheter med data och underlag. Studierna kommer att genomföras med det material som CombiGenes CDMO-partner Viralgen producerat i enlighet med den process som i ett senare skede kommer att användas för GMP-tillverkning.

Som förberedelser inför studierna inom biodistribution och toxikologi har NBR sedan tidigare genomfört pilotstudier med CG01 för att säkerställa att det når avsett område i hjärnan och att de verksamma substanser som är kodade i CG01, NPY och Y2, uttrycks.

Pilotstudierna har även genererat material till *StageBio* och *Accelero*, som är de två bolag som utvecklat metoder som ska användas i utvärderingen av de prekliniska studierna. StageBio kommer att analysera uttrycket av NPY och Y2 i hjärnan samt genomföra så kallad histopatologi, det vill säga se om det förekommer några sjukliga vävnadsförändringar vid behandling med CG01. Accelero kommer att genomföra biokemiska analyser som bland annat innefattar upptäckt av eventuell utveckling av antikroppar mot CG01.

De prekliniska studierna inom biodistribution och toxikologi är ett mycket viktigt steg på väg mot den första studien i människa inom CG01-projektet som är planerad att inledas 2022.

Om CG01

Till skillnad från många genterapier, som utvecklas för behandling av sällsynta sjukdomar, vänder sig CG01 till en stor population patienter. Epilepsi är ett stort globalt problem. Varje år beräknas cirka 47 000 läkemedelsresistenta patienter med fokal epilepsi tillkomma i USA, EU4 + UK, Japan och Kina. CombiGene gör bedömningen att det är realistiskt att 10–20 procent av dessa patienter skulle kunna behandlas med läkemedelskandidaten CG01. Om man för exemplets skull antar att terapikostnaden per patient ligger någonstans mellan 134 000 USD och 200 000 USD (vilket jämfört med godkända genterapiläkemedel är lågt), ger det en försäljning mellan 750 – 1 500 miljoner USD årligen.

Horizon 2020



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

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. Forskningsstillgångar tas in från ett nätverk av externa forskare och utvecklas vidare fram till klinisk konceptverifiering. Läkemedelskandidater för vanligt förekommande sjukdomar kommer att samutvecklas och kommersialiseras genom strategiska partnerskap, medan CombiGene kan komma att driva utveckling och kommersialisering i egen regi för läkemedel som vänder sig till begränsade patientpopulationer. Bolaget är publikt och noterat på Nasdaq First North Growth Market och bolagets Certified Advisor är FNCA Sweden AB, +46 (0)852 80 03 99, info@fnca.se.

Om Northern Biomedical Research

Northern Biomedical Research har samarbetat med kunder inom forskning, läkemedelsindustri och biotech i mer än 25 år. Företaget är specialiserat inom farmakologi, toxikologi, biodistribution och farmakokinetik (läran om läkemedels omsättning i kroppen). Företaget är baserat i Spring Lake, Michigan, USA.

Om StageBio

StageBio är en ledande leverantör av GLP-kompatibla tjänster inom obduktion, histologi, patologi och arkivering av preparat för biofarmaceutiska, medicintekniska, akademiska och kontraktsforskningsindustrier. Företaget driver sex GLP-laboratorier samt två GLP-arkiveringsanläggningar i USA och fortsätter att göra betydande investeringar i anläggnings- och teknikinfrastruktur för att möta den växande efterfrågan på högkvalitativa histopatologitjänster globalt. StageBio har ett team med över 25 certifierade veterinärpatologer och mer än 50 laboratorietekniker som stödjer deras engagemang för kvalitet, vetenskaplig integritet och kundnöjdhet.

Om Accelero

Accelero Bioanalytics är ett GLP-certifierat laboratorium specialiserat på att leverera bioanalytiska tjänster till läkemedelsutvecklingsindustrin sedan 2011. Företaget ligger i Berlin, Tyskland.

För ytterligare information:

CombiGene AB (publ)
Jan Nilsson, vd
Tel: +46 (0)704 66 31 63
jan.nilsson@combigene.com

Bert Junno, styrelseordförande
Tel: +46(0) 70 7 77 22 09
bert.junno@combigene.com

Läs även *Genevägen*, ett nyhetsbrev från CombiGene som innehåller allmänna nyheter och information som inte bedöms som kurspåverkande. *Genevägen* och *Pressmeddelande* finns på www.combigene.com