

THE GENE THERAPY EXPLORER

"Under årets första kvartalet har CombiGene rustat sig finansiellt genom en fullt garanterad företrädesemission om 75 miljoner kronor. Vi har också stärkt bolagets kompetens och kapacitet inom produktion, kliniska studier och genterapi genom tre viktiga nyrekryteringar"

Jan Nilsson
VD

Delårsrapport

januari – mars 2021 för CombiGene AB (publ)



Delårsrapport januari – mars 2021 för CombiGene AB (publ)

Första kvartalet januari - mars 2021

- Nettoomsättning: 0 (0) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 5 118 (4 058) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -10 856 (-7 583) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,05 (-0,12) SEK.
- Likviditet vid periodens utgång: 34 091 (9 545) TSEK.
- Soliditet vid periodens utgång: 87,87 (32,97)%.

Händelser efter periodens utgång

- CombiGene slutför den fullt garanterad företrädesemissionen och bolaget tillförs cirka 75 MSEK
- Kallelse till årsstämma i CombiGene AB

Händelser under perioden

- CombiGenes styrelse beslutar om en fullt garanterad företrädesemission om cirka 75 MSEK
- Svar från de svenska och brittiska läkemedelsmyndigheterna konfirmerar CombiGenes plan för CG01:s avslutande prekliniska studier
- Materialet från den första storskaliga produktionen av CG01 frisläpps för användning i de avslutande delarna av det prekliniska programmet
- Inom CG01-projektet inleds prekliniska biodistributions- och toxikologistudier
- CombiGenes lipodystrofi projekt tilldelas 882 500 EUR i utvecklingsanslag av EU:s Eurostars-program



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



CombiGene's project CGT2 is supported by the Eurostars Programme. Project ID: 114714



Nu tar vi de sista stegen mot den första studien i människa

Under årets första kvartal har CombiGene rustat sig finansiellt genom en fullt garanterad företrädesemission om 75 miljoner kronor för att planerligt inleda den avslutande och kostnadsintensiva delen av den prekliniska fasen av CG01. Vi har också stärkt bolagets kompetens och kapacitet inom produktion, kliniska studier och genterapi genom tre viktiga nyrekryteringar. CombiGene är därmed ett starkare bolag än någonsin tidigare och vi kommer att använda denna position för att ta de sista avgörande stegen mot den första studien i människa i vårt epilepsiprojekt CG01 – en historisk och värdeskapande milstolpe för CombiGene.

CG01 fortsätter att flytta fram positionerna

Vi bedriver nu utvecklingen av CG01 i tre spår: avslutande prekliniska studier, GMP-produktion av CG01 och förberedelser av den första studien i människa. Arbetet löper enligt plan inom samtliga områden.

Prekliniska studier. Under kvartalet frisläppte det CG01-material som ska användas i de avslutande prekliniska studierna. Efter att ha fått konfirmerande svar från läkemedelsmyndigheterna i Sverige och Storbritannien kunde vi därmed inleda toxikologi- och biodistributionsstudien i smådjur. Under kvartalet påbörjade vi också arbetet med att välja injektionshjälpmedel för administrationen av CG01 och att definiera exakt hur denna administration ska utföras. Senare under året kommer vi att inleda den avslutande toxikologi- och biodistributionsstudien i stordjur.

Produktion. GMP-produktionen av vår läkemedelskandidat CG01 kommer att genomföras under andra halvåret 2021 och åtföljas av sedvanligt analys- och kvalitetssäkringsarbete innan läkemedelskandidaten frisläpps för användning under inledningen av 2022.

Förberedelser av den första studien i människa. Även vad gäller förberedelserna av vår första kliniska studie fortgår arbetet enligt plan. Vi arbetar för närvarande med att välja vilket CRO-bolag vi ska samarbeta med och vid vilka kliniker som studien ska genomföras. Kommande steg omfattar utformning av studieupplägg tillsammans med vår vetenskapliga kommitté, vår CRO-partner och kliniker för att därefter presentera vår studiedesign för berörda läkemedelsmyndigheter.

Ansökan om kliniskt prövningstillstånd 2022

Vår plan är att samtliga delar av de prekliniska studierna, GMP-produktionen och studieförberedelserna ska vara på plats under 2022. Vi kommer därefter att lämna in en klinisk prövningsansökan, en så kallad CTA (Clinical Trial Application), med ambitionen att inleda den första studien i människa under andra halvåret 2022.

EU fortsätter att satsa på CombiGene – anslår 882 500 EUR till utvecklingen av lipodystrofiprojektet CGT2

CombiGenes epilepsiprojekt CG01 har sedan tidigare beviljats anslag om 3,36 MEUR av EU-programmet Horizon 2020. Nu väljer EU att också satsa på vårt lipodystrofiprojekt CGT2 genom programmet Eurostars. Detta program vänder sig till små och medelstora utvecklingsbolag som avser att använda sig av de stora fördelar som internationella samarbeten kan ge. Detta är med andra ord en utmärkt beskrivning av CombiGene.

Eurostars är det största internationella finansieringsprogrammet för små och medelstora företag som vill samarbeta kring FoU. Konkurrensen är hög och anslag tilldelas bara projekt som kommer högt upp på rankingen.

Tack vare anslaget från Eurostars har vi att kunnat bredda det internationella samarbetet i detta viktiga projekt till att även omfatta University Medical Center Hamburg-Eppendorf och CRO-bolaget Accelero. Projektanslaget fördelas enligt följande: CombiGene tilldelas 481 000 EUR, Hamburg-Eppendorf 265 000 EUR och Accelero 136 500 EUR.

Avslutningsvis vill jag rikta ett stort tack till alla er som följer och stödjer CombiGene,

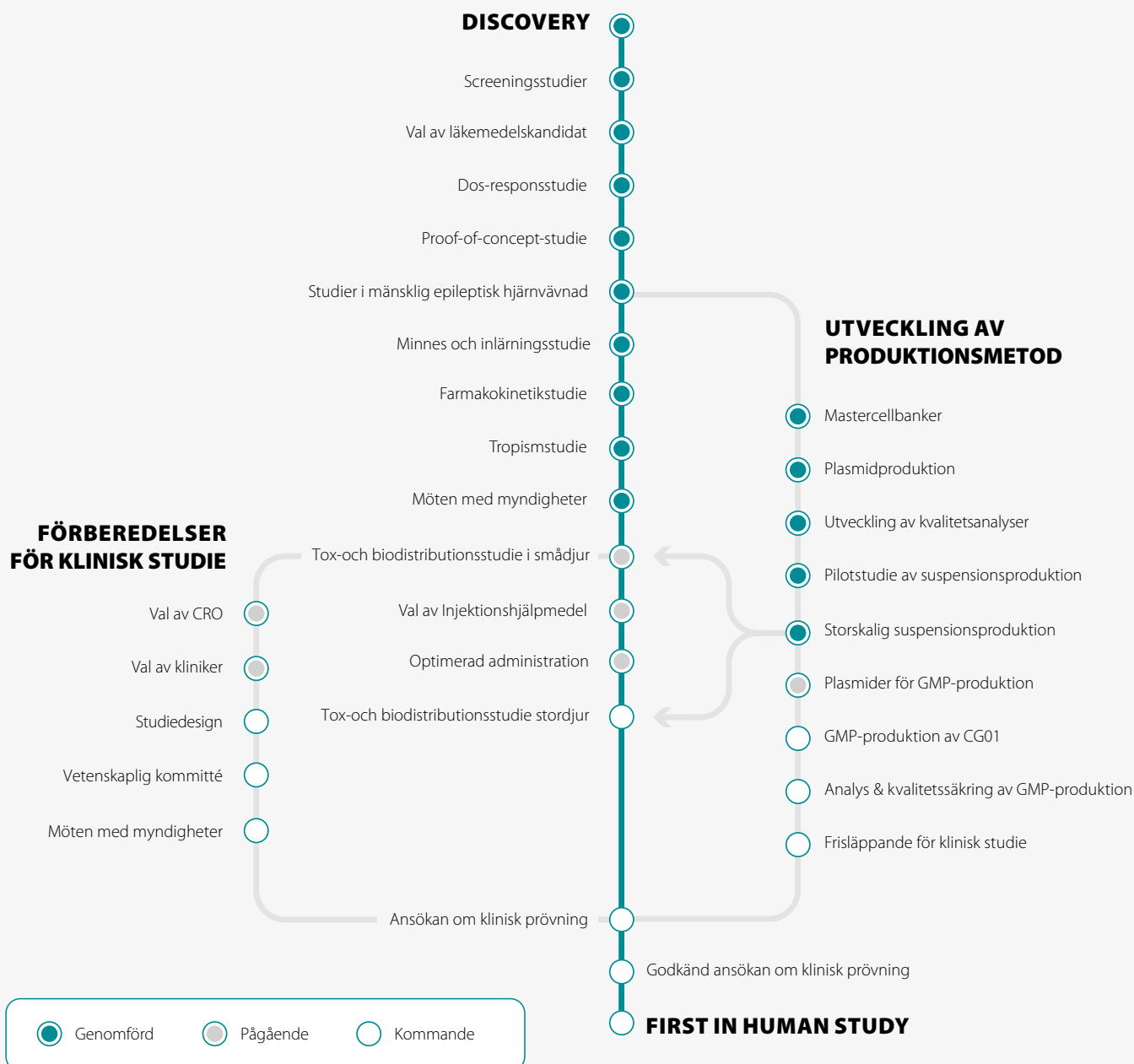
Jan Nilsson
Vd



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

CG01 – roadmap

Illustrationen visar hur CombiGenes epilepsiprojekt CG01 steg för steg närmar sig den första studien i människa, som är planerad att inledas under 2022.



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

Den globala marknaden för läkemedelskandidaten CG01 uppskattas till 750 – 1 500 miljoner USD årligen

Epilepsi är ett stort globalt problem. Uppskattningar visar att 0,6 till 0,8 procent av jordens befolkning lider av sjukdomen. 2016 fanns det 5,7 miljoner diagnostiserade epilepsipatienter i USA, EU4 + UK och Japan. Cirka en tredjedel av dessa patienter svarar inte på traditionell medicinsk behandling. Av dessa har cirka 60 procent en fokal epilepsi, dvs en epilepsi där anfallet uppkommer i ett väldefinierat område i hjärnan. Det är denna grupp av epileptiker som CombiGene avser att hjälpa med sin läkemedelskandidat CG01.

Enorm potential för CombiGene

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 bolagets läkemedelskandidat 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.

Några ord från vår forsknings- och utvecklingschef

CG01 – uppdatering

CombiGenes epilepsiprojekt CG01 fortsatte att avancera väl i kvartalet. Det material vi producerat för våra prekliniska studier frisläpptes i mars efter sedvanlig analys och kvalitetssäkring. Därmed kunde vi inleda den första av två toxikologi- och biodistributionsstudier. Under kvartalet påbörjade vi även arbetet med att välja injektionshjälpmedel och optimera administrationen. Själva administrationen är ju oerhört viktig eftersom det handlar om att nå ett väldigt noga definierat område i hjärnan med en väldigt exakt dos av vårt läkemedel. Vad gäller förberedelserna av den första kliniska studien utvärderar vi för närvarande vilket CRO-bolag vi ska samarbeta med och vid vilka kliniker som studien ska genomföras.

Karin Agerman
Chief Research & Development Officer



Karin Agerman
Chief Research and Development Officer



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

CG01 – milstolpar

2016

- Första screeningstudie genomförd.
- Val av slutgiltig läkemedelskandidat.

2017

- Data från dos-responsstudie visar dosberoende antiepileptisk effekt
- Preklinisk konceptverifieringsstudien i en modell av kronisk epilepsi inleds
- Studie i mänsklig epileptisk hjärnvävnad från farmakoresistenta epilepsipatienter bekräftar att CG01 kan uttryckas i mänskliga celler

2018

- Slutliga data från den prekliniska konceptverifieringsstudien bekräftar positiva behandlings-resultat i form av signifikant färre och kortare anfall.
- CombiGene inleder samarbete med brittiska CGT Catapult om att ta fram en GMP-klassad tillverkningsmetod för CG01.
- Horizon 2020, EU:s ramprogram för forskning och utveckling, anslår 3,36 miljoner EUR för utveckling och kommersialisering av CG01.

2019

- Förvärv av Panion Animal Health ger CombiGene fullständig kontroll över samtliga immateriella tillgångar i CG01-projektet.
- Avtal med CRO-bolaget Northern Biomedical Research som är specialiserat på prekliniska studier i centrala nervsystemet. Avtalet omfattar utvärdering av läkemedelskandidaten CG01 i en mindre pilotstudie, en biodistributionsstudie samt en säkerhetsstudie, en så kallad toxikologistudie.
- CombiGene tecknar avtal med det svensk-brittiska CDMO-företaget Cobra Biologics angående produktion av plasmider för tillverkningen av läkemedelskandidaten CG01.

2020

- Preklinisk farmakokinetik studie slutförd med positiva resultat. Studien bekräftar att CG01 skapar ett långvarigt uttryck av de verksamma substanserna NPY och Y2.
- Inlärnings- och minnesstudie visar att NPY och Y2 inte har någon signifikant negativ påverkan på kognitiva funktioner.
- Leverans av de tre plasmider som behövs för att producera CG01.
- Leverans av mastercellbanker för de tre plasmiderna.

- Framgångsrik pilotstudie av suspension som produktionsmetod.
- Positiva svar från tropismstudie.
- Avtal om GMP-produktion med Cobra avseende plasmider för CG01.
- Analysmetoder för kvalitetskontroll av produktionen av CG01 utvecklade i samarbete med CGT Catapult.
- Produktionsavtal med Viralgen för produktion av CG01.
- Avtal med brittiska Neurochase om utveckling av optimerad administration av CG01.
- Första storskaliga produktionen av CG01 hos den spanska genterapitillverkaren Viralgen.

2021

- Materialet från den första storskaliga produktionen av CG01 frisläppt för användning i de avslutande delarna av det prekliniska programmet.
- CG01-projektet inleder prekliniska biodistributions- och toxikologistudier i smådjur.



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



Totalmarknaden för lipodystrofiprojektet CGT2 uppskattas till 700 – 1450 miljoner USD

Med lipodystrofiprojektet, som inlicensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB (Lipigon) hösten 2019, expanderar CombiGenes verksamhet till att omfatta även metabola sjukdomar. Det initiala målet för projektet är att utveckla en genterapibehandling för partiell lipodystrofi, en mycket ovanlig sjukdom som idag helt saknar adekvat behandling. Projektet befinner sig i ett tidigt utvecklingsstadium.

Partiell lipodystrofi är en mycket sällsynt sjukdom som idag saknar verksamma behandlingsmöjligheter. Man uppskattar att det idag finns cirka 500 patienter i USA och 300 patienter i EU och att patientpopulationen förväntas växa med knappt fyra procent om året. Om man antar att CGT2 kommer att behandla mellan 25 och 50 procent av patienterna och att behandlingen per patient ligger på 1,5 miljoner USD i USA och 1,3 miljoner USD i Europa blir den totala försäljningspotentialen mellan 700 – 1 450 miljoner USD.

Det finns en annan grupp patienter med lipodystrofi som saknar ett ämne som heter leptin. Denna grupp av patienter kommer initialt inte att behandlas med CGT2, men det finns idag en medicinsk behandling som kostar 850 000 USD i USA per år och patient, vilket indikerar att det finns en hög betalningsvilja för denna typ av sjukdom.



CombiGene's project CGT2 is supported by the Eurostars Programme. Project ID: 114714

Några ord från vår Preclinical Project Manager

CGT2 – uppdatering

CGT2, CombiGenes projekt för att utveckla en genterapeutisk behandling av partiell lipodystrofi, befinner sig i preklinisk utveckling. Sedan vi licensierade in projektet från Lipigon 2019 har tempot i projektet accelererat och vi börjar nu se de första frukterna av detta arbete. Första steget med att designa genterapivektorer och testa dessa in vitro (tester på olika leverceller) har genomförts med goda resultat. Därefter har in vivo-studier inletts.

Viktiga händelser under första kvartalet 2021

Den viktigaste nyheten i kvartalet är tveklöst att vårt lipodystrofiprojekt tilldelas cirka nio miljoner kronor av EU:s Eurostars-program för att tillsammans med University Medical Center Hamburg-Eppendorf och CRO-bolaget Accelero driva projektet framåt. Anslaget i sig är viktigt eftersom det gör att vi kan fortsätta vårt arbete med full kraft. Vår höga ranking bland de bolag som ansökt om anslag från Eurostars-programmet ser jag också som en bekräftelse på projektets vetenskapliga höjd och CombiGenes förmåga att i



Annika Ericsson
Senior Project Manager

samarbete med externa partners driva ett effektivt och framgångsrikt utvecklingsarbete. Projektanslaget fördelas enligt följande: CombiGene tilldelas 481 000 EUR, Hamburg-Eppendorf 265 000 EUR och Accelero 136 500 EUR.

Annika Ericsson
Preclinical Project Manager

Lipodystrofiprojektet – 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 korrekt 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

- Lipodystrofiprojekt får 882 500 EUR i utvecklingsanslag från EU:s Eurostars-program.



CombiGene's project CGT2 is supported by the Eurostars Programme. Project ID: 114714

Genterapi attraherar stort intresse

Genterapi är ett av de mest dynamiska områdena inom dagens läkemedelsutveckling. Vid utgången av 2020 pågick 423 kliniska studier, varav 72 befann sig i fas III, den sista kliniska fasen före marknadsgodkännande. Fokus för de kliniska studierna ligger på onkologiska sjukdomar, kardiovaskulära sjukdomar samt sjukdomar relaterade till det centrala nervsystemet. Investeringarna i genterapi uppgick ökade med 70 procent under 2020. Det är alltså i detta dynamiska landskap som CombiGene är verksamt.

Det stora intresset för genterapi från såväl forskare som investerare förklaras av de unika fördelar som genterapin erbjuder. För det första har genterapi potentialen att behandla sjukdomar som idag saknar adekvata behandlingsmetoder. För det andra kan genterapin genom ett eller ett fåtal behandlingstillfällen erbjuda långvarig, möjligen livslång effekt, vilket ska jämföras med traditionella läkemedel som ofta måste tas flera gånger om dagen livet ut.

Att genterapi är ett av de intressantaste områdena inom läkemedelsutveckling bekräftas också av de senaste årens framgångar i USA och EU. Den 30 augusti 2017 godkände den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för första gången ett genterapeutiskt läkemedel för den amerikanska marknaden. Vid utgången av 2019 fanns det fyra produkter som är godkända för både USA och EU. Utöver detta finns ytterligare tre produkter godkända i EU och en i USA. FDA har också demonstrerat en stor tilltro till genterapi genom att förenkla regelverket för denna typ av läkemedel. CombiGene gör bedömningen att antalet godkända genterapier kommer att öka snabbt under de närmaste åren och bli ett etablerat behandlingsalternativ inom en rad områden.



Finansiell information

Intäkter och resultat

Koncernen har omsatt 0 (0) TSEK under perioden januari-mars. Övriga rörelseintäkter uppgår till 5 118 (4 058) TSEK varav 4 586 (3 608) TSEK avser intäktsfördel av erhållet bidrag från Horizon 2020 och 217 (0) TSEK avser intäktsfördel av erhållet bidrag från Eurostars. Rörelseresultatet för perioden uppgår till -10 856 (-7 188) TSEK. De huvudsakliga kostnaderna under perioden har hänfört sig till forskning & utveckling, arvoden till konsulter och personalkostnader.

Kassaflöde och finansiell ställning

Kassaflödet för perioden januari-mars uppgår till -14 804 TSEK. Likviditeten vid periodens utgång uppgår till 34 091 TSEK. Soliditeten uppgår till 87,9%.

Likviditet och finansiering

Det totala anslaget från Horizon 2020 uppgår till 3,36 miljoner euro varav 2,9 miljoner euro hitintills har utbetalats till Bolaget. 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 0,25 miljoner kronor hittills har betalats ut. Styrelsen och företagsledningen utvärderar kontinuerligt alternativ för att säkerställa bolagets finansiering på kort och medellång sikt.

I mars/april 2021 genomfördes en garanterad företrädesemission av aktier. Företrädesemissionen tillförde bolaget ca 75 MSEK före emissionskostnader. Bolagets aktiekapital ökade med 16 674 692,6 SEK, från 22 927 702,4 SEK till 39 602 395 SEK. Antalet aktier ökade med 166 746 926 aktier, från 229 277 024 aktier till 396 023 950 aktier.

Aktien

Antalet aktier vid periodens utgång uppgick till 229 277 024 st med kvotvärde om 0,10 SEK. Periodens genomsnittliga antal aktier uppgår till 229 277 024. Samtliga aktier är av samma slag och har samma rösträtt.

Lund den 12 maj 2021, CombiGene AB (publ)

Bert Junno
Ordförande

Jonas Ekblom
Styrelseledamot

Jan Nilsson
Styrelseledamot och VD

Per Lundin
Styrelseledamot

Peter Nilsson
Styrelseledamot

Personal

Antalet anställda i koncernen vid periodens utgång uppgick till 7 (3), av vilka 4 (2) är kvinnor. Därtill kom en administrativ resurs som var anlitad som 1 (2) konsulter varav 1 (2) var kvinnor.

Risker och osäkerhetsfaktorer

Ett läkemedelsutvecklingsbolag av CombiGenes typ kännetecknas av en hög operationell och finansiell risk. Det finns många faktorer som negativt kan påverka sannolikheten för kommersiell framgång. De risker som i Bolagets nuvarande skede bedöms som viktigast att beakta är risken för att CombiGenes metod inte är säker eller inte är effektiv, samt risken för att verksamheten inte kan få erforderlig finansiering. Under innevarande period har inga väsentliga förändringar avseende dessa risk- eller osäkerhetsfaktorer inträffat.

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.

Årsstämma och årsredovisning

Ordinarie bolagsstämma 2021 kommer att avhållas den 25 maj klockan 10.00 i Lund. Årsredovisningen kommer att hållas tillgänglig för allmänheten på bolagets kontor i Lund samt publiceras på Nasdaq webbplats, senast 3 veckor innan stämman.

Granskning av revisor

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

Kommande finansiell rapport

Delårsrapport januari – juni 2021, den 20 augusti 2021.

För ytterligare information:

CombiGene AB (publ), Jan Nilsson, vd
Tel: +46 (0) 46-275 60 10
E-post: jan.nilsson@combigene.com

Koncernens resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2021 jan-mar	2020 jan-mar	2020 jan-dec	2019 jan-dec
Nettoomsättning	0	0	0	0
Övriga rörelseintäkter	5 118	4 058	12 029	15 730
Rörelsens kostnader				
Övriga externa kostnader	-12 631	-8 561	-29 640	-25 263
Personalkostnader	-2 463	-1 462	-7 185	-6 165
Övriga rörelsekostnader	-231	-612	-869	-827
Rörelseresultat före avskrivningar	-10 207	-6 576	-25 665	-16 525
Avskrivningar	-649	-611	-2 495	-1 166
Rörelseresultat efter avskrivningar	-10 856	-7 188	-28 159	-17 692
Finansiellt netto	0	-478	-1 392	-237
Resultat efter finansiella poster	-10 856	-7 665	-29 551	-17 929
Skatter	0	0	0	0
Periodens resultat	-10 856	-7 665	-29 551	-17 929
Hänförligt till				
Moderbolagets aktieägare	-10 856	-7 583	-29 551	-17 602
Innehav utan bestämmande inflytande	0	-82	0	-326
Resultat per aktie före utspädning	-0,05	-0,12	-0,13	-0,28
Resultat per aktie efter utspädning	-0,05	-0,12	-0,13	-0,28
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	229 277 024	65 053 647	178 780 152	57 543 838
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	229 277 024	65 053 647	178 780 152	57 543 838
Utestående antal aktier	229 277 024	65 053 647	229 277 024	65 053 647

Koncernens balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2021 31 mar	2020 31 mar	2020 31 dec	2019 31 dec
TILLGÅNGAR				
Immateriella anläggningstillgångar	23 397	24 325	24 046	24 936
Summa anläggningstillgångar	23 397	24 325	24 046	24 936
Omsättningstillgångar				
Varulager	824	0	824	0
Övriga fordringar	10 631	4 455	5 649	3 716
Kassa och bank	34 091	9 545	48 895	15 166
Summa omsättningstillgångar	45 546	14 000	55 368	18 882
Summa tillgångar	68 943	38 325	79 414	43 818
SKULDER OCH EGET KAPITAL				
Aktiekapital	22 928	6 505	22 928	6 505
Övrigt tillskjutet kapital	136 305	69 348	136 305	69 348
Annat eget kapital	-87 800	-57 393	-58 248	-39 787
Årets resultat	-10 856	-7 583	-29 551	-17 602
Summa eget kapital hänförligt till moderbolaget aktieägare	60 577	10 877	71 433	18 464
Minoritetsintresse	0	1 758	0	1 840
Summa eget kapital	60 577	12 635	71 433	20 304
Skulder				
Kortfristiga skulder	8 366	25 689	7 981	23 514
Summa skulder	8 366	25 689	7 981	23 514
Summa eget kapital och skulder	68 943	38 325	79 414	43 818

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	22 928	136 305	-87 800	71 433
Periodens resultat			-10 856	-10 856
Belopp vid periodens utgång	22 928	136 305	-98 656	60 577

Koncernens kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2021	2020	2020	2019
	jan-mar	jan-mar	jan-dec	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-14 804	-10 616	-38 346	-21 605
Kassaflöde från investeringsverksamheten	0	-4	-104	-1 521
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	0	5 000	72 179	6 487
Periodens kassaflöde	-14 804	-5 620	33 729	-16 639
Likvida medel vid periodens början	48 895	15 165	15 166	31 805
Likvida medel vid periodens slut	34 091	9 545	48 895	15 166

Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2021	2020	2020	2019
	jan-mar	jan-mar	jan-dec	jan-dec
Nettoomsättning	0	0	0	0
Övriga rörelseintäkter	5 118	4 058	12 029	15 730
Rörelsens kostnader				
Övriga externa kostnader	-12 625	-8 134	-29 136	-23 732
Personalkostnader	-2 463	-1 462	-7 185	-6 064
Övriga rörelsekostnader	-231	-612	-869	-825
Rörelseresultat	-10 201	-6 149	-25 160	-14 891
Avskrivningar	-75	-38	-200	-19
Rörelseresultat efter avskrivningar	-10 276	-6 187	-25 360	-14 910
Finansiellt netto	0	-478	-4 352	-181
Resultat efter finansiella poster	-10 276	-6 665	-29 712	-15 091
Skatter	0	0	0	0
Periodens resultat	-10 276	-6 665	-29 712	-15 091

Moderbolagets balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2021 31 mar	2020 31 mar	2020 31 dec	2019 31 dec
TILLGÅNGAR				
Immateriella anläggningstillgångar	4 465	3 098	4 540	3 135
Finansiella anläggningstillgångar	22 601	23 467	23 175	23 463
Summa anläggningstillgångar	27 066	26 565	27 714	26 598
Omsättningstillgångar				
Varulager	824	0	824	0
Övriga fordringar	11 231	4 455	6 233	3 684
Kassa och bank	33 909	9 266	48 703	14 959
Summa omsättningstillgångar	45 964	13 721	55 759	18 643
Summa tillgångar	73 030	40 286	83 474	45 241
SKULDER OCH EGET KAPITAL				
Bundet eget kapital				
Aktiekapital	22 928	6 505	22 928	6 505
Reservfond	4	4	4	4
Fond för utvecklingskostnader	612	508	612	508
Fritt eget kapital				
Överkursfond	116 619	49 255	116 619	49 255
Balanserad förlust inklusive årets resultat	-75 454	-41 452	-64 604	-34 787
Summa eget kapital	64 708	14 820	75 558	21 484
Skulder				
Kortfristiga skulder	8 322	25 466	7 916	23 757
Summa skulder	8 322	25 466	7 916	23 757
Summa eget kapital och skulder	73 030	40 286	83 474	45 241

Rapport i sammandrag över moderbolagets förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktie- kapital	Reserv- fond	Fond för utvecklings- utgifter	Överkurs- fond	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	22 928	4	612	116 619	-64 604	75 558
Periodens resultat					-10 850	-10 850
Belopp vid periodens utgång	22 928	4	612	116 619	-75 454	64 708

Moderbolagets kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2021	2020	2020	2019
	jan-mar	jan-mar	jan-dec	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-14 794	-10 689	-38 284	-14 971
Kassaflöde från investeringsverksamheten	0	-4	-3 259	-8 706
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	0	5 000	75 286	7 011
Periodens kassaflöde	-14 794	-5 693	33 743	-16 666
Likvida medel vid periodens början	48 703	14 959	14 959	31 625
Likvida medel vid periodens slut	33 909	9 266	48 703	14 959

Nyckeltal för koncernen

Belopp i TSEK	2021	2020	2020	2019
	jan-mar	jan-mar	jan-dec	jan-dec
Resultat per aktie före utspädning, kr	-0,05	-0,12	-0,17	-0,31
Resultat per aktie efter utspädning, kr	-0,05	-0,12	-0,17	-0,31
Eget kapital per aktie, kr	0,26	0,19	0,31	0,31
Soliditet, %	87,87	32,97	89,95	46,34
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	229 277 024	65 053 647	178 780 152	57 543 838
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	229 277 024	65 053 647	178 780 152	57 543 838
Utestående antal aktier	229 277 024	65 053 647	229 277 024	65 053 647

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
Vid periodens utgång		22 927 702,4		229 277 024		0,10

Ordlista

AED

Anti-Epileptic Drug.

GMP

Good Manufacturing Practice eller god tillverkningssed är ett övergripande kvalitets-säkringssystem som tillämpas vid produktion av läkemedel. Tillstånd för GMP beviljas av läkemedelsmyndighet och processen kännetecknas av mycket rigida och höga kvalitetskrav i alla avseenden.

In vitro

Term inom biomedicinsk vetenskap som anger att experiment eller iakttagelser är gjorda i till exempel provrör, det vill säga i en konstgjord miljö och inte i en levande organism (i provrör).

In vivo

Term inom biomedicinsk vetenskap som anger att experiment eller iakttagelser är gjorda på levande organismer (i djur).

Kliniska studier

Undersökning av ett nytt läkemedel eller behandlingsform med friska försökspersoner eller med patienter där avsikten är att studera effekt och säkerhet för en ännu inte godkänd behandlingsform (i människa).

Klinisk fas I

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

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

Klinisk fas III

Fas III-studier 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.

Proof of concept

Bevis som indikerar att en metod har potential att användas med avsedd effekt.

Neuropeptid

Neuropeptider är små proteinliknande molekyler (peptider) som används av neuroner för att kommunicera med varandra.

NPY

Signalsubstansen neuropeptid Y som är den vanligast förekommande neuropeptids-transmittorn i djur- och människohjärnan.

Viral vektor

Virala vektorer är verktyg som används för att leverera genetiskt material till celler. Exempel på virala vektorer kan vara lentivirus, adeno-associerade virus (AAV), retrovirus och adenovirus. AAV vektorer är icke skadliga virus som kan infektera mänskliga celler utan att skapa sjukdom och där leverera det genetiska materialet.



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



CombiGene's project CGT2 is supported by the Eurostars Programme. Project ID: 114714

CombiGene – The gene therapy explorer

CombiGene är Nordens ledande genterapiföretag med ett projekt som går mot kliniska studier och ett projekt i tidig preklinisk fas. Genterapi har under de senaste åren haft en snabb utveckling med flera godkända terapier och ett antal stora företagsaffärer. Under samma period har vi byggt upp en unik kunskapsposition i Norden. Vårt kunnande spänner över genterapins alla centrala områden: virusvektorer, prekliniska studier inklusive biodistributions- och toxikologistudier, utveckling av GMP-klassade tillverkningsmetoder, uppskalning av produktionsvolymerna och regulatoriskt arbete.

Det finns idag få saker inom läkemedelsutvecklingen som är lika spännande och lika lovande som genterapi och CombiGene befinner sig på många sätt i utvecklingens framkant. Under arbetet med vårt epilepsiprojekt CGO1 har vi nästan dagligen dragit nya lärdomar, kommit till nya insikter och därmed expanderat vårt kunnande. Man skulle kunna säga att vi är på en expedition där vi utforskar genterapins fantastiska möjligheter. Vi fortsätter nu vår resa med ytterligare ett spännande projekt – lipodystrofiprojektet CGT2. Också här förväntar vi oss skapa ny och värdefull kunskap i takt med att vi utvecklar detta projekt vidare.

Så det är det vi är – utforskare – och det är därför vi valt att kalla oss the gene therapy explorer.



www.combigene.com

CombiGene AB (publ)
Medicon Village, SE-223 81 Lund, Sweden
info@combigene.com

