

THE GENE THERAPY EXPLORER

"2019 var ett mycket bra år för CombiGene. Vårt epilepsiprojekt CG01 uppnådde under året flera betydande milstolpar och vi har knutit flera viktiga leverantörer till oss. Under 2019 har vi också breddat vår verksamhet med ytterligare ett genterapiprojekt – lipodystrofi projektet som vi inlicensierat från Lipigon. Detta innebär att CombiGene nu är verksamt inom två mycket intressanta områden, centrala nervsystemet och det metabola systemet."

Jan Nilsson, VD CombiGene AB (publ)

Bokslutskommuniké

Januari – december 2019 för CombiGene AB (publ)

Bokslutskommuniké januari – december 2019 för CombiGene AB (publ)

Fjärde kvartalet oktober-december 2019

- Nettoomsättning: 0 (0) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 3 908 (1 549) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -9 037 (-3 159) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,14 (-0,06) SEK.

Perioden januari - december 2019

- Nettoomsättning: 0 (8) TSEK.
- Övriga rörelseintäkter: 15 730 (3 728) TSEK.
- Resultat efter finansiella poster: -17 929 (-13 146) TSEK.
- Resultat per aktie: -0,28 (-0,25) SEK.
- Likviditet vid periodens utgång: 15 166 (31 806) TSEK.
- Soliditet vid periodens utgång: 46 (58) %.

Verksamheten under fjärde kvartalet 2019

- CombiGene expanderar till metabola sjukdomar genom ett inlicensieringsavtal med Lipigon Pharmaceuticals och stärker därmed sin ställning som Nordens ledande genterapibolag.
- CombiGene tecknar avtal med Cobra Biologics angående produktion av läkemedelskandidaten CG01.
- CombiGene genomför en riktad nyemission av aktier till Lipigon Pharmaceuticals som dellikvid för inlicensieringen av lipodystrofiprojektet. Vad gäller kommande delmålsbetalningar har CombiGene fortsatt möjlighet att betala med aktier i bolaget. Avtalet är exklusivt och utan begränsningar i tid.
- CombiGene erhåller en andra utbetalning från Horizon 2020 om 1,2 miljoner euro. Det totala anslaget från Horizon 2020 uppgår till 3,36 miljoner euro varav 2,7 miljoner euro har utbetalats till Bolaget.

CombiGene AB – The Gene Therapy Explorer

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 är publikt och är noterat på Nasdaq First North Growth Market och bolagets Certified Advisor är FNCA Sweden AB, +46 (0)852 80 03 99, info@fnca.se

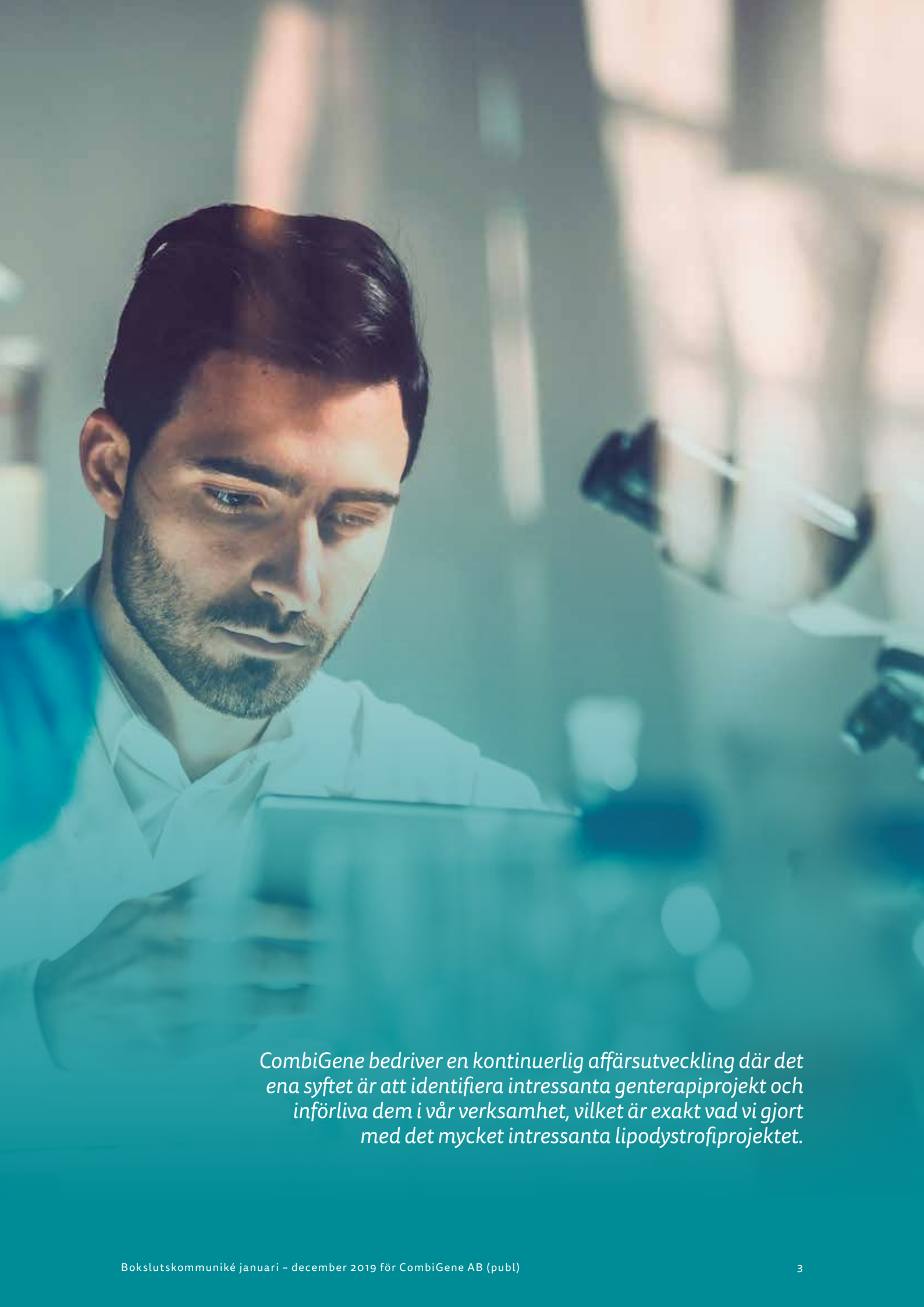
För ytterligare information:

CombiGene AB (publ)

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

Arne Ferstad, styrelseordförande
Tel: +44 (0)749 652 61 42
arne.ferstad@combigene.com

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



CombiGene bedriver en kontinuerlig affärsutveckling där det ena syftet är att identifiera intressanta genterapiprojekt och införliva dem i vår verksamhet, vilket är exakt vad vi gjort med det mycket intressanta lipodystrofiprojektet.

VD-ord

2019 var ett mycket bra år för CombiGene. Vårt epilepsiprojekt CGO1 uppnådde under året flera betydande milstolpar och vi har knutit flera viktiga leverantörer till oss. Under 2019 har vi också breddat vår verksamhet med ytterligare ett genterapiprojekt – lipodystrofi projektet som vi inlicensierat från Lipigon. Detta innebär att CombiGene nu är verksam inom två mycket intressanta områden, centrala nervsystemet och det metabola systemet.

Nordens ledande genterapibolag

Under 2019 fortsatte vi att arbeta efter vår långsiktiga strategi som syftar till att etablera CombiGene som Nordens ledande genterapibolag. När vi nu lägger 2019 bakom oss vill jag gärna framhålla tre områden där vi tagit betydande steg framåt. Det första är vårt epilepsiprojekt CGO1 som avancerat enligt plan och där vägen till kliniska studier är tydligt utstakad. Det andra området är breddningen av vår projektportfölj. CombiGene bedriver ett kontinuerligt arbete för att identifiera intressanta genterapiprojekt och införliva dem i vår verksamhet, vilket är exakt vad vi gjort med det mycket intressanta lipodystrofi projektet. Det tredje området är vårt partneringsarbete. CombiGene har under 2019 varit mycket aktivt på en rad vetenskapliga konferenser och vi har en löpande dialog med flera bolag som kan bli intressanta partners i framtiden.

CombiGene uppmärksammades också i en rad olika media under året. Företagets vetenskapliga grundare publicerade två artiklar om studier med CGO1, Analysguiden har gjort en analys av CombiGene och BioStock har skrivit flera artiklar om CombiGene och det stora intresset för genterapi.

Avgörande framsteg i epilepsiprojektet CGO1

Det mycket omfattande arbetet att utveckla produktionsmetod för CGO1 är nu till stora delar avslutat, och vi har genom avtal med såväl CDMO- som CRO-partner tagit ytterligare steg på vägen mot kommande kliniska studier. Under årets tredje kvartal slutfördes även förvärvet av Panion. Genom förvärvet har vi fullständig kontroll över de immateriella tillgångarna, vilket är särskilt viktigt i dialogen med framtida strategiska partners.

CombiGene expanderar till metabola sjukdomar

Med lipodystrofi projektet, som inlicensierades från Lipigon Pharmaceuticals AB (Lipigon) i oktober 2019, expanderar vi vår verksamhet till att även omfatta metabola sjukdomar.

Anledningen till att vi ser stor potential inom lipodystrofi är att flertalet av dessa patienter saknar adekvat behandling. Idag finns det endast en behandling som är begränsad till patienter som lider av leptinbrist. Kostnaden för varje behandlad patient uppgår till cirka 500 000 dollar per år i USA. För de patienter som inte lider av leptinbrist finns ingen verksam behandling och det är för dessa som vi avser att utveckla en behandling. Det faktum att sjukdomen är sällsynt öppnar dessutom upp möjligheter att ansöka om sär läkemedelsklassificering, vilket innebär tillgång till särskild rådgivning och assistans från de regulatoriska myndigheterna i samband med kliniska studier, lägre avgifter vid interaktioner med de regulatoriska myndigheterna, en snabbare väg till marknad samt marknadsexklusivitet under tio år.

Avtalet vi skrivit med Lipigon innebär att CombiGene inlicensierar Lipigons projekt för behandling av lipodystrofi genom avancerad genterapi.



CombiGene's lead project CGO1 has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 823282

Utsikter för 2020

Innan vi inleder kliniska studier i CG01-projektet kommer vi genomföra fullskaliga biodistributions- och toxikologistudier. Detta arbete kommer att utföras av vår CRO-partner Northern Biomedical Research (NBR). Vi har redan startat en mindre förberedande pilotstudie tillsammans med NBR. Detta är nödvändigt för att ge underlag till utvecklingen av de analysmetoder som krävs för att kunna utvärdera eventuell toxisk effekt av CG01 i de följande biodistributions- och toxikologistudierna. De fullskaliga biodistributions- och toxikologistudierna startar när material från Cobra Biologics, vår CDMO-partner, finns tillgängligt.

Jag vill avslutningsvis tacka alla mina kollegor på CombiGene för ett fantastiskt arbete under 2019. Vi ser nu ett bredare och starkare CombiGene ta form och det är med stor tillförsikt och energi vi nu griper oss an framtiden.

Jan Nilsson
vd



Det mycket omfattande arbetet att utveckla produktionsmetod för CG01 är nu till stora delar avslutat, och vi har genom avtal med såväl CDMO- som CRO-partner tagit ytterligare steg på vägen mot kommande kliniska studier.

Några ord från vår forsknings- och utvecklingschef

CGO1 – uppdatering

2019 var ett år då vi tog flera betydande steg framåt i vårt epilepsiprojekt CGO1. Under årets två avslutande kvartal tecknade vi två viktiga avtal som gör att vi har god kontroll över CGO1-projektets avslutande prekliniska studier och att vägen mot kliniska studier är tydligt utstakad. Nedan följer en sammanfattning av årets viktigaste händelser avseende CGO1:

Första kvartalet

- Arbetet på CGT Catapult växlades upp under detta kvartalet. Utöver att jobba med fortsatt utveckling av analysmetoder började också CGT Catapult processutveckling för produktion av CGO1.
- Stort fokus sattes på utvärdering av flera CDMO-bolag som ska producera materialet till kommande säkerhetsstudier i djur samt det GMP-klassade materialet till den första kliniska studien.
- Förberedelse för den första kliniska studien påbörjades i liten skala genom att vi anlidade en brittisk konsult för att arrangera ett möte med kliniker i Storbritannien. Konsulten har lång erfarenhet av kliniska studier och generaprojekt både från stora läkemedelsbolag och från biotechbolag.

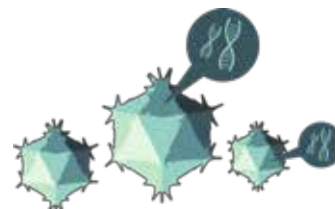
Andra kvartalet

- Tidigt i april genomfördes det första mötet med epilepsiläkare och neurokirurger i London för att presentera CGO1-projektet samt få en bättre förståelse för situationen för terapieresistenta epilepsipatienter i Storbritannien.
- På CGT Catapult var det fortsatt hög aktivitet. Flera centrala analysmetoder kom på plats och processutveckling för produktion av CGO1 sattes i full gång.
- Utvärdering av CDMO-bolag som ska producera materialet till kommande säkerhetsstudier i djur samt det GMP-klassade materialet till den första kliniska studien var i sitt slutskede och beräknades bli klart under hösten.

- Parallellt med utvärdering av CDMO-bolag utvärderades även vilket CRO-bolag som ska få genomföra de kommande säkerhetsstudierna i djur. Dessa studier är ett regulatoriskt krav innan vi kan starta vår första kliniska studie.
- Ett par prekliniska studier startades under våren/sommaren vilkas resultat vi behöver för initiering av de viktiga säkerhetsstudierna.
- För planeringen av den kliniska studien anlidades en svensk konsult på deltid med fokus på att identifiera dels vilket CRO-bolag vi skall använda och dels i vilket land den första kliniska studien skall genomföras.

Tredje kvartalet

- Under inledningen av september tecknade vi avtal med CRO-bolaget Northern Biomedical Research (NBR) som är specialiserat på prekliniska studier i centrala nervsystemet (CNS). Avtalet omfattar utvärdering av läkemedelskandidaten CGO1 i en mindre pilotstudie, en biodistributionsstudie samt en säkerhetsstudie, så kallad toxikologistudie. Vi tecknade även separata avtal med två andra CRO-bolag för genomförande av vävnads- och biokemiska analyser på materialet från ovanstående studier. De fullskaliga biodistributions- och toxikologistudierna startar när material från vår CDMO partner, Cobra Biologics (Cobra) finns tillgängligt.
- Det första året i vårt H2020 projekt var till ända och den första rapporteringen till EU gjordes.



De fullskaliga biodistributions- och toxikologistudierna startar när material från vår CDMO partner, Cobra Biologics (Cobra) finns tillgängligt.



CombiGene's lead project CGO1 has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 823282



Fjärde kvartalet

- I oktober tecknade vi avtal angående produktion av läkemedelskandidaten CGO1 med det brittisk-svenska CDMO-bolaget (kontraktstillverkare) Cobra Biologics (Cobra). Initialt kommer Cobra producera de plasmider som behövs för produktion av CGO1 och parallellt med detta genomföra den omfattande teknologi- och metodöverföringen från CGT Catapult. Därefter genomförs en så kallad Engineering Run där hela produktionsprocessen testas. Materialet från denna Engineering Run kommer att användas för toxikologi- och biodistributionstesterna.
- En förberedande pilotstudie för biodistributions och toxikologistudierna initierades tillsammans med NBR i slutet av december. Denna pilotstudie kommer att ge material till våra CRO-samarbetspartners som ska utveckla analysmetoder för att kunna utvärdera effekten av CGO1.
- Vår rapportering på Horizon 2020 projektet till EU fick godkänt och en andra utbetalning gjordes.
- Det praktiska arbetet i de prekliniska studierna som startade under våren/sommaren avslutades och resultaten beräknas vara sammanställda och klara under första kvartalet 2020.



Med de två avtalen med NBR och Cobra har vi nu god kontroll över CGO1-projektets avslutande prekliniska studier och produktion, vilket gör att vägen mot kliniska studier är tydligt utstakad.

Karin Agerman
Chief Research and Development Officer

Genterapi attraherar stort intresse

Genterapi är ett av de mest dynamiska områdena inom dagens läkemedelsutveckling. Vid utgången av tredje kvartalet 2019 pågick 370 kliniska studier, varav 32 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 under de tre första kvartalen 2019 till 5,6 miljarder USD.

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.



Epilepsi – ett globalt problem

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, EU5 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 dessa epileptiker som CombiGene avser att hjälpa med sin läkemedelskandidat CG01.

Enorm potential för CombiGene

Enbart i USA tillkommer ungefär 14 000 läkemedelsresistenta patienter med en fokal epilepsi varje år som skulle kunna vara kandidater

för kirurgi. 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 skulle uppgå till USD 200 000 (vilket jämfört med godkända genterapiläkemedel är lågt), ger det en omsättning om mellan €280–560 miljoner. Motsvarande omsättningssiffror globalt beräknas till €0,9–1,8 miljarder.



CG01 – milstolpar

2016

- Första screeningstudie genomförd
- Val av slutgiltig läkemedelskandidat

2017

- Data från dos-responsstudie visar dosberoende anti-epileptisk effekt
- Preklinisk konceptverifieringsstudie i en modell av kronisk epilepsi inleds
- Studie i mänsklig epileptisk hjärnvävnad bekräftar att CG01 kan uttryckas i mänsklig celler

2018

- Slutliga data från den prekliniska konceptverifieringsstudien bekräftar positiva behandlingsresultat 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 (ca 35 miljoner SEK) 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.
- Avtal med CDMO-bolaget Cobra Biologics angående GMP-produktion av CG01 för kliniska studier och framtida kommersiell produktion.

Lipodystrofiprojektet



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.

Om lipodystrofi

Lipodystrofi är en sjukdom där fettfördelningen på kroppen är förändrad, vilket kan leda till en storvuxen kroppsform eller fettansamlingar vid hals, ansikte och bål medan armar och ben är smala. Centralt för sjukdomen är att levern lagrar upp fett, vilket leder till allvarliga komplikationer som svårbehandlad diabetes, akut bukspottkörtelinflammation, hjärt-kärlsjukdom och inflammation i levern. Patienterna drabbas också ofta av muskelsmärter och sammantaget leder detta till en kraftigt försämrad livskvalitet. Lipodystrofi är därmed ett stort medicinskt problem, men kan också vara socialt handikappande.

Det finns idag ett fåtal symptomlindrande behandlingar mot lipodystrofi, men ingen terapi som riktar sig mot grundorsaken till sjukdomen. För patienter som lider av partiell lipodystrofi finns det för närvarande inga behandlingar överhuvudtaget.

Samarbetspartner

Lipigon

Lipigon grundades 2010 av ledande lipidexperter vid Umeå universitet, primärt för att hantera IP-frågor. 2016 expanderade företaget med egna lokaler för forskning och egna forskare anställdes. Idag har Lipigon kontor och laboratorier i Umeå och vid BioVenture Hub i Göteborg.

Lipodystrofiprojektet – milstolpar

2019

- Inlicensiering av projektet från Lipigon

Finansiell information

Intäkter och resultat

Koncernen har omsatt 0 (8) TSEK under perioden januari-december. Övriga rörelseintäkter uppgår till 15 730 (3 728) TSEK varav 14 955 (3 628) TSEK avser intäktsfördel av erhållet bidrag från Horizon 2020. Rörelseresultatet för perioden uppgår till -17 690 (-13 181) 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-december uppgår till -16 639 TSEK. Likviditeten vid periodens utgång uppgår till 15 166 TSEK. Soliditeten uppgår till 46,34%.

Likviditet och finansiering

Det totala anslaget från Horizon 2020 uppgår till 3,36 miljoner euro varav 2,7 miljoner euro hitintills har utbetalats till Bolaget. Styrelsen och företagsledningen utvärderar kontinuerligt alternativ för att säkerställa bolagets finansiering på kort och medellång sikt. Den 11 november tog CombiGene ett lån om 7 miljoner kronor. Långgivare är Modelio Equity AB och Munkkullen 5 förvaltning AB. Från och med 1 januari 2020 har Långgivarna rätt att påkalla riktade, på delar eller hela lånet, kvittningsemissioner av aktier i bolaget, löpande till 10% rabatt i förhållande till referenspriset. Referenspriset är det volymviktade genomsnittspriset (VWAP) under de senaste 20 (tjugo) handelsdagarna. Referenspriset kan som lägst uppgå till 1,10 SEK. Om långgivaren påkallar riktade kvittningsemissioner av aktier i Bolaget så är Styrelsen skyldig att utnyttja sitt bemyndigande att emittera aktier i enlighet med detta.

Aktien

Antalet aktier vid periodens utgång uppgick till 65 053 647 st med kvotvärde om 0,10 SEK. Periodens genomsnittliga antal aktier uppgår till 57 543 838. Samtliga aktier är av samma slag och har samma rösträtt.

Personal

Antalet anställda i koncernen vid periodens utgång uppgick till 3 (2), av vilka 2 (2) är kvinnor. Därtill kom en administrativ resurs samt en Chief Financial Officer som var anlitade som 2 (1) konsulter varav 2 (1) var kvinnor.

Lund den 13 februari 2020, CombiGene AB (publ)

Arne Ferstad
Ordförande

Hilde Furberg
Styrelseledamot

Lars Thunberg
Styrelseledamot

Peter Nilsson
Styrelseledamot

Susana Ayesa Alvarez
Styrelseledamot

Jan Nilsson
Verkställande direktör

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.

Förslag till disposition av resultat

Styrelsen föreslår att ingen vinstutdelning sker för räkenskapsåret 2019.

Årsstämma och årsredovisning

Ordinarie bolagsstämma 2020 kommer att avhållas den 26 maj 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 – mars 2020, den 14 maj 2020.

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	2019 okt-dec	2018 okt-dec	2019 jan-dec	2018 jan-dec
Nettoomsättning	0	0	0	8
Övriga rörelseintäkter	3 908	1 549	15 730	3 728
Rörelsens kostnader				
Övriga externa kostnader	-9 678	-4 241	-25 263	-15 052
Personalkostnader	-2 059	-397	-6 165	-1 865
Övriga rörelsekostnader	-404	0	-825	
Rörelseresultat före avskrivningar	-8 234	-3 089	-16 524	-13 181
Avskrivningar	-592	0	-1 166	0
Rörelseresultat efter avskrivningar	-8 826	-3 089	-17 690	-13 181
Finansiellt netto	-210	-70	-238	35
Resultat efter finansiella poster	-9 037	-3 159	-17 929	-13 146
Skatter	0	0	0	0
Periodens resultat	-9 037	-3 159	-17 929	-13 146
Varav hänförligt till				
Moderbolagets aktieägare	-8 878	-3 159	-17 602	-13 146
Innehav utan bestämmande inflytande	-159	0	-326	0
Resultat per aktie före utspädning	-0,14	-0,06	-0,28	-0,25
Resultat per aktie efter utspädning	-0,14	-0,06	-0,28	-0,25
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	64 389 048	51 593 476	57 543 838	26 889 024
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	64 389 048	51 593 476	57 543 838	26 889 024
Utestående antal aktier	65 053 647	51 593 476	65 053 647	51 593 476

Koncernens balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019 31 dec	2018 31 dec
TILLGÅNGAR		
Immateriella anläggningstillgångar	24 936	1 654
Summa anläggningstillgångar	24 936	1 654
Omsättningstillgångar		
Övriga fordringar	3 716	1 657
Kassa och bank	15 166	31 805
Summa omsättningstillgångar	18 882	33 462
Summa tillgångar	43 818	35 116
SKULDER OCH EGET KAPITAL		
Aktiekapital	6 505	5 159
Övrigt tillskjutet kapital	69 348	54 590
Annat eget kapital	-39 787	-26 149
Årets resultat	-17 602	-13 146
Summa eget kapital hänförligt till moderbolaget aktieägare	18 464	20 455
Minoritetsintresse	1 840	
Summa eget kapital	20 304	20 455
Skulder		
Kortfristiga skulder	23 514	14 661
Summa skulder	23 514	14 661
Summa eget kapital och skulder	43 818	35 116

Rapport i sammandrag över koncernens förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktiekapital	Annat tillskjutet kapital	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Innehav utan bestämmande inflytande	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	5 159	54 590	-39 294		20 455
Apportemission	1 213	13 377			14 590
Emission	133	1 381			1 514
Förvärv med innehav utan bestämmande inflytande				2 201	2 201
Förvärv från innehav utan bestämmande inflytande			-493	-35	-528
Periodens resultat			-17 602	-326	-17 929
Belopp vid periodens utgång	6 505	69 348	-57 389	1 840	20 304

Koncernens kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2019	2018	2019	2018
	okt-dec	okt-dec	jan-dec	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	4 438	9 723	-21 605	230
Kassaflöde från investeringsverksamheten	0	-98	-1 521	-431
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	6 942	25 058	6 487	27 089
Periodens kassaflöde	11 380	15 237	-16 639	26 888
Likvida medel vid periodens början	3 785	16 569	31 805	4 918
Likvida medel vid periodens slut	15 165	31 806	15 165	31 806

Moderbolagets resultaträkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019 okt-dec	2018 okt-dec	2019 jan-dec	2018 jan-dec
Nettoomsättning	0	0	0	8
Övriga rörelseintäkter	3 908	1 549	15 730	3 728
Rörelsens kostnader				
Övriga externa kostnader	-8 870	-4 222	-23 732	-15 034
Personalkostnader	-2 060	-397	-6 064	-1 864
Övriga rörelsekostnader	-404		-825	
Rörelseresultat	-7 426	-3 070	-14 891	-13 162
Avskrivningar	-19	0	-19	0
Rörelseresultat efter avskrivningar	-7 445	-3 070	-14 910	-13 162
Finansiellt netto	-206	-70	-181	35
Resultat efter finansiella poster	-7 651	-3 140	-15 091	-13 127
Skatter	0	0	0	0
Periodens resultat	-7 651	-3 140	-15 091	-13 127

Moderbolagets balansräkning i sammandrag

Belopp i TSEK	2019	2018
	31 dec	31 dec
TILLGÅNGAR		
Immateriella anläggningstillgångar	3 135	1 654
Finansiella anläggningstillgångar	23 463	167
Summa anläggningstillgångar	26 598	1 821
Omsättningstillgångar		
Övriga fordringar	3 684	1 674
Kassa och bank	14 959	31 625
Summa omsättningstillgångar	18 643	33 299
Summa tillgångar	45 241	35 120
SKULDER OCH EGET KAPITAL		
Bundet eget kapital		
Aktiekapital	6 505	5 159
Reservfond	4	4
Fond för utvecklingskostnader	508	508
Fritt eget kapital		
Överkursfond	49 255	34 501
Balanserad förlust inklusive årets resultat	-34 787	-19 697
Summa eget kapital	21 484	20 474
Skulder		
Kortfristiga skulder	23 757	14 646
Summa skulder	23 757	14 646
Summa eget kapital och skulder	45 241	35 120

Rapport i sammandrag över moderbolagets förändringar i eget kapital

Belopp i TSEK	Aktie- kapital	Reserv- fond	Fond för utveck- lings- utgifter	Överkurs- fond	Balanserat resultat inkl periodens resultat	Summa eget kapital
Ingående balans vid årets början	5 159	4	507	34 501	-19 697	20 474
Avsättning till fond för utvecklingsutgifter						
Apportemission	1 213			13 376		14 589
Emission	133			1 378		1 511
Periodens resultat					-15 091	-15 091
Belopp vid periodens utgång	6 505	4	507	49 255	-34 788	21 484

Moderbolagets kassaflödesanalys i sammandrag

Belopp i TSEK	2019	2018	2019	2018
	okt-dec	okt-dec	jan-dec	jan-dec
Kassaflöde från den löpande verksamheten	5 507	-9 723	-14 971	230
Kassaflöde från investeringsverksamheten	-1 158	-98	-8 706	-431
Kassaflöde från finansieringsverksamheten	7 011	25 058	7 011	27 089
Periodens kassaflöde	11 361	15 237	-16 665	26 888
Likvida medel vid periodens början	3 598	16 388	31 625	4 737
Likvida medel vid periodens slut	14 959	31 625	14 959	31 625

Nyckeltal för koncernen

Belopp i TSEK	2019	2018	2019	2018
	okt-dec	okt-dec	jan-dec	jan-dec
Resultat per aktie före utspädning, kr	-0,14	-0,06	-0,28	-0,25
Resultat per aktie efter utspädning, kr	-0,14	-0,06	-0,28	-0,25
Eget kapital per aktie, kr	0,31	0,39	0,31	0,39
Soliditet, %	46,34	58,27	46,34	58,27
Genomsnittligt antal aktier före utspädning	64 389 048	51 593 476	57 543 838	26 889 024
Genomsnittligt antal aktier efter utspädning	64 389 048	51 593 476	57 543 838	26 889 024
Utestående antal aktier	65 053 647	51 593 476	65 053 647	51 593 476

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
Vid periodens utgång		6 505 365		65 053 647		0,10

Ordlista

Biodistributionsstudie. Studie för att titta på hur ett läkemedel sprider sig i kroppen.

CDMO-bolag. Kontraktstillverkare.

CG01. CombiGenes epilepsiprojekt.

CNS. Centrala nervsystemet.

CRO-bolag. Bolag som specialiserat sig på att genomföra prekliniska och/eller kliniska studier.

Dos-responsstudie. Studie som beskriver hur kroppen svarar på en viss koncentration av ett läkemedel.

Engineering Run. Tillverkning där hela produktionsprocessen testas.

EU5. Frankrike, Italien, Spanien, Storbritannien och Tyskland.

FDA. Food and Drug Administration. Den amerikanska läkemedelsmyndigheten.

Genterapi. En behandlingsform av vissa sjukdomstillstånd som går ut på att införa en eller fler nya gener till cellerna i en organism.

GMP. Good Manufacturing Practice (God tillverkningssed). Regelverk som styr tillverkning av läkemedel.

Horizon 2020. EU:s ramprogram för forskning och utveckling.

Kardiovaskulära sjukdomar. Sjukdomar som rör hjärta och kärl.

Klinisk studie. Undersökning på friska eller sjuka människor för att studera effekten av ett läkemedel eller behandlingsmetod. Kliniska prövningar delas upp i olika faser. Dessa faser benämns Fas I, Fas II, Fas III och Fas IV.

Konceptverifieringsstudie. Studie som visar på att konceptet med läkemedlet fungerar.

Lipodystrofi. Sjukdom där fettfördelningen på kroppen är förändrad.

Läkemedelskandidat. Ett ännu inte godkänt läkemedel som är under utveckling.

Läkemedelsresistens. Nedsatt eller utebliven effekt av ett läkemedelspreparat på en organism, sjukdom eller vävnad.

Metabola sjukdomar. Sjukdomar som orsakas av störning i ämnesomsättningen.

Onkologiska sjukdomar. Cancersjukdomar.

Prekliniska studier. Studier av ett läkemedel som genomförs innan studier i människa påbörjas.

Screeningstudie. Tidiga studier då olika läkemedelskandidater jämförs mot varandra för att välja den som har bäst egenskaper.

Toxikologistudie. Studie för att studera hur och vid vilka doser som ett läkemedel påverkar olika organ och delar av kroppen.

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 produktionsvolymmer 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. 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.



 **combiGene**

www.combigene.com

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