

GENEVÄGEN

NYHETER FRÅN COMBIGENE AB

NUMMER 3 • 2022

Hög aktivitet i branschen – och hos CombiGene

Välkomna till ett nytt nummer av Genevägen!

CombiGene befinner sig för närvarande i ett mycket spännande läge i bolagets utveckling. Efter den framgångsrika utlicensieringen av vårt epilepsiprojekt CG01 till Spark Therapeutics hösten 2021 har vi intensifierat våra ansträngningar att hitta nya projekt för inlicensiering samtidigt som vi förbereder bolaget att hantera en växande projektportfölj. Mer om detta finns att läsa i den stora intervjun med Karin Agerman, CombiGenes Chief Scientific Officer. I detta nummer av Genevägen finns även intervjuer med vår nya Chief Operating Officer Peter Ekolind och vår nya Senior Director In-licensing Birgitta Ståhl som båda är viktiga i det språng som CombiGene nu förbereder sig för.

Genterapiområdet i sig fortsätter också att utvecklas i rask takt. Under första halvåret 2022 bedrevs det 372 kliniska studier inom en rad olika sjukdomsområden (ARM, H1 2022). Särskilt glädjande är det att kunna konstatera att genterapin nu också gör sig allt mer gällande i den kliniska vardagen. Mer om detta finns att läsa i artikeln "Genterapin levererar".

Jan Nilsson
Vd

TEMA GENTERAPI

Genterapin lev

● **Aktivitetsnivån inom genterapiområdet är hög. Under första halvåret 2022 bedrevs det 372 kliniska studier med olika genterapikandidater. Onkologi är det dominerande området och står för cirka 52 procent av alla studierna. På andra plats kommer sjukdomar inom det centrala nervsystemet som står för åtta procent av det totala antalet studier följt av infektionssjukdomar, hematologi och genetiska sjukdomar som tillsammans representerar 16 procent av antalet studier. (ARM, H1 2022) Utsikterna för att vi under kommande år kommer att se ytterligare terapier som får marknadsgodkännande är därmed goda.**

Vår partner Spark Therapeutics har utvecklat den genterapi som används på Sahlgrenska Universitetssjukhuset

Men genterapin är inte bara ett forsknings- och utvecklingsfält. Det finns redan ett antal godkända terapier i klinisk användning. I Sverige är Sahlgrenska Universitetssjukhuset i Göteborg först i landet med en genterapi mot ärftlig blindhet. Patienten är en kvinna med svår synnedbättring på båda ögonen. Sahlgrenska har även planer att inom kort behandla ett barn. (Lakartidningen.se 2022-09-16)

Genterapin som Sahlgrenska använder tillhandahålls i Sverige av Novartis.

Behandling av spinalmuskelatrofi i Sverige

Den allvarligaste varianten av spinalmuskelatrofi (SMA) kallas SMA1 och drabbar små barn upp till 18 månaders ålder. SMA1 är en ovanlig ärftlig sjukdom där musklerna förtvinar. Barnen slutar krypa och lungorna påverkas och utan behandling kan SMA1 vara dödlig. Forskningen har gått snabbt framåt och under de senaste åren har det funnits behandlande läkemedel för daglig medicinering. Nu har det gjorts ytterligare framsteg.

Tidigare i år gavs en engångsbehandling med genterapi för behandling av barn med SMA1. Forskningen visar att om en engångsbehandling med genterapi genomförs innan barnet väger 13,5 kilo kan motorneuronen fortsätta att utvecklas. Förhoppningen är att barnen därmed kan bli botade. (Sveriges radio, Vetenskapsradion Hälsa 2022-10-14)

Länk till läkartidningen

<https://lakartidningen.se/aktuellt/nyheter/2022/09/sahlgrenska-forst-i-landet-med-genterapi-mot-arftlig-blindhet/#:~:text=Nu%20har%20alltså%20en%20första,dubbla%20mutationer%20i%20genen%20RPE65.>

Länk till Sverige Radio

<https://sverigesradio.se/avsnitt/barn-far-inte-va-ga-over-13-5-kilo-for-att-fa-genterapin-som-kan-bota-dem>

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

vererar



*Kvinnan på bilden är drabbad av spinal muskelatrofi (SMA).
Bilden är godkänd för publicering.*

CombiGene växlar upp

”Arbetet med att ta in nya projekt börjar självfallet med att hitta intressanta genterapitillgångar som passar in i vår vision för CombiGene.”

● När CombiGene utlicensierade epilepsiprojektet CG01 till Spark Therapeutics hösten 2021 innebar detta inte enbart att bolaget erhöll 8,5 miljoner USD i initial betalning och möjligheten att erhålla ytterligare 320 miljoner USD i framtida milstolpsbetalningar. Avtalet innebar också att CombiGene i ett slag etablerade sig som en viktig aktör på den internationella genterapimarknaden där stora läkemedelsbolag nu med intresse följer CombiGenes verksamhet inför framtida potentiella licensaffärer och där mindre aktörer inom industri och akademi ser CombiGene som en attraktiv partner för vidare utveckling av deras genterapitillgångar. Genevägen kontaktade CombiGenes Chief Scientific Officer Karin Agerman för att höra hur CombiGene arbetar med sin affärsutveckling och ansträngningarna att identifiera nya projekt för inlicensiering.

CombiGene arbetar aktivt med sin affärsutveckling. Kan du övergripande beskriva detta arbete?

”Gärna. Låt mig börja med att beskriva vår affärsmodell. CombiGene forskar inte självt fram nya genterapitillgångar. Detta överlåter vi åt andra, kan man säga. Det första steget i vår affärsmodell är därför att ta in genterapitillgångar från externa forskare inom akademi eller industri. Så gjorde vi med epilepsiprojektet CG01 som är sprunget ur professor Merab Kokaias och docent David Woldbyes forskning vid universiteten i Lund och Köpenhamn och så gjorde vi med lipodystrofi-projektet CGT2 som vi inlicensierade från det svenska bolaget Lipigon.”

”Den andra delen av affärsmodellen är att utveckla de genterapitillgångar som vi inlicensierat till prekliniskt eller kliniskt proof-of-concept. När vi kommit så långt har vi två spår att välja mellan. För genterapier som riktar sig till stora patientpopulationer har vi som ambition att utlicensiera vår genterapi till ett stort läkemedelsföretag med kompetens och resurser att ta projektet vidare genom fortsatt preklinisk/klinisk utveckling och kommersialisering, precis som vi gjorde med CG01-projektet. Vad gäller terapier som utvecklas för behandling av ett begränsat antal patienter håller vi även öppet för att ta en läkemedelskandidat hela vägen till marknad i egen regi.”

”Det var en lång bakgrund”, säger Karin med ett lätt skratt, ”men jag tycker att det är viktigt att man förstår hur vi arbetar. Nu till din fråga! CombiGenes affärsutveckling speglar självfallet vår affärsmodell och syftar primärt till två saker: att hitta nya och intressanta projekt för inlicensiering och utlicensiering av projekt som nått proof-of-concept. På vilket område som tyngdpunkten ligger varierar över tid. Under flera år arbetade

vi intensivt för att hitta en partner för epilepsiprojektet CG01. Sedan Spark inlicensierade detta projekt har tyngdpunkten flyttats till att ta in nya projekt. Så här långt i CombiGenes utveckling har vi inlicensierat två projekt och utlicensierat ett projekt. Vi har ännu inte stått inför en situation där vi har möjligheten att ta ett projekt hela vägen till marknad i egen regi.”

Låt oss se lite närmare på arbetet att hitta nya projekt. Hur går det till rent konkret?

”Det kommer bli ett långt svar på denna fråga också är jag rädd eftersom det är ett mycket omfattande arbete som innehåller flera komponenter. Låt mig börja med att säga att CombiGene kontinuerligt arbetar med denna del av vår affärsutveckling, men att vi har intensifierat våra ansträngningar under senare tid, inte minst efter avtalet med Spark. Arbetet med att ta in nya projekt börjar självfallet med att hitta intressanta genterapitillgångar som passar in i vår vision för CombiGene. Detta arbete pågår kontinuerligt och på flera olika sätt.”

”Med hjälp av studenter från Karolinska Institutet har vi kartlagt akademiska grupper som arbetar med olika former av genterapi och vi följer fortlöpande deras arbete. På motsvarande sätt har vi med hjälp av patentjurister kartlagt genterapi-relaterade patent i Norden och Baltikum, vilket gör att vi har en god överblick över det arbete som bedrivs inom industri/akademi i Sverige och övriga nordiska/baltiska länder. Självfallet är vi på CombiGene också aktiva för att hitta nya intressanta projekt på konferenser och inom våra personliga nätverk – de flesta av oss som arbetar på CombiGene är ju forskare i grunden. CombiGenes styrelse, som ju också innehåller skolade vetenskapsmän, deltar också aktivt i arbetet att hitta nya projekt.”



INTERVJU MED KARIN AGERMAN, CHIEF SCIENTIFIC OFFICER

”Vi har ett mycket brett synfält när vi utvärderar potentiella projekt. Kreativiteten i forskarvärlden är alldeles häpnadsväckande!”

”Utöver detta har vi uppdragit åt ett konsultföretag att scouta intressanta genterapitillgångar globalt för att vi inte ska begränsa oss till det utbud som finns i Norden. Slutligen har vi också med hjälp av en postdoc från Karolinska Institutet kartlagt vilka intressanta möjligheter som finns bland sällskapsmedelskandidater i USA. Vi arbetar med andra ord brett med många olika aktiviteter.”

Den låter som ett imponerande arbete, men vilka är de konkreta resultaten av era ansträngningar?

”Vi har så här långt tittat på flera kandidater. De har av olika skäl inte passat in i CombiGenes verksamhet. Det handlar då om saker som att det saknas patent eller saknas möjlighet att söka patent, att patienterna inte går att diagnostisera på ett bra sätt och att det inte finns några bra djurmodeller. Det har även funnits rent affärsmässiga skäl som gjort att vi bestämt oss för att inte gå vidare.”

”Utöver detta så har vi en ganska betydande lista på projekt som vi nu tittar aktivt på. Det är självfallet av avgörande betydelse för CombiGene att hitta nya intressanta projekt för inlicensiering. Samtidigt är det minst lika viktigt att vi tackar nej till projekt som av en eller annan anledning inte passar vår verksamhet. Apples grundare Steve Jobs sa att han var lika stolt över de produkter som Apple valt att inte utveckla som de produkter de faktiskt lanserade. CombiGene har samma inställning.”

Finns det något projekt där ni är nära att teckna avtal?

”Frågor av den typen kan CombiGene som noterat bolag inte svara på. Den dag det finns ett avtal på plats kommer vi naturligtvis att meddela detta omgående, men innan dess kommenterar vi inte. Vad jag kan säga är att förhandlingar av detta slag är komplexa eftersom ett avtal kring genterapitillgångar av nödvändighet måste reglera en rad olika detaljfrågor. Att komma fram till ett slutgiltigt avtal är därför en process som tar lång tid även i den bästa av världar.”

Jag förstår. Om vi tar ett lite annorlunda perspektiv, vilken är den övergripande målsättningen för CombiGene just nu?

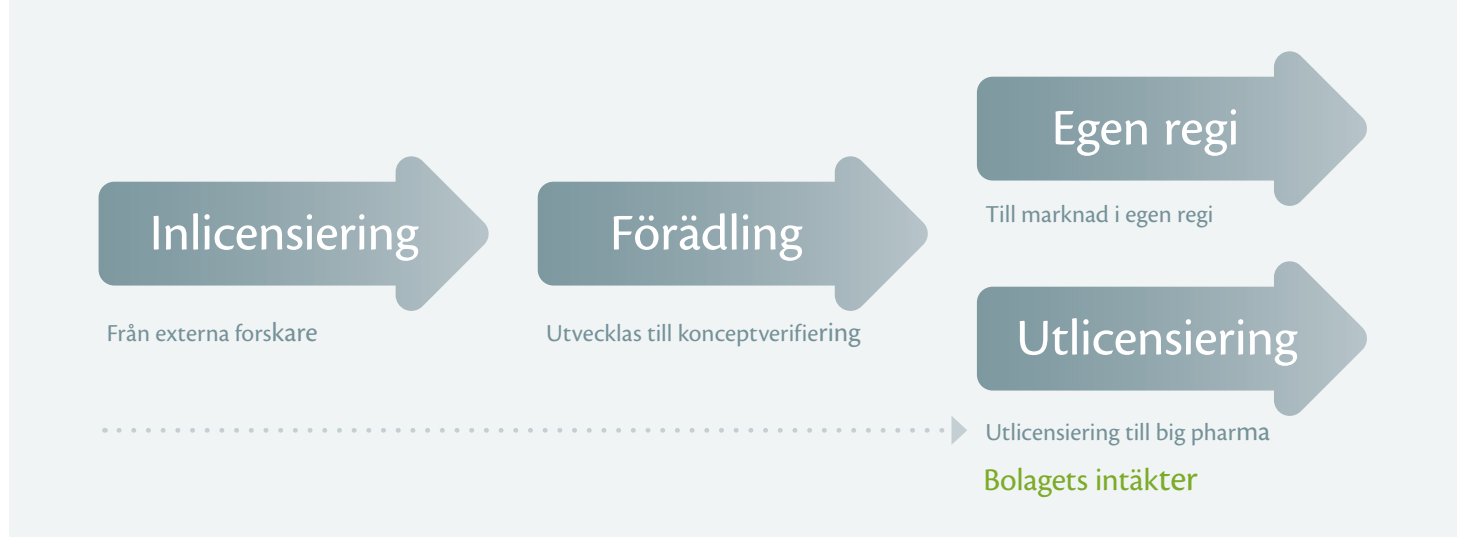
”Vår ambition är att bygga en bred projektportfölj som innehåller projekt i flera av läkemedelsutvecklingens olika faser, allt från projekt i riktigt tidig fas till projekt i klinisk utveckling och därmed bidra till att genterapier blir kommersialiserade och kommer i klinisk användning.”

”En viktig anledning att bygga en bred portfölj och kontinuerligt fylla på denna portfölj med nya kandidater är att långt ifrån alla läkemedelskandidater klarar sig hela vägen till marknadsgodkännande. Det är tvärtom så att majoriteten av världens alla läkemedelsprojekt faller ifrån någonstans under den prekliniska eller den kliniska utvecklingen. Skälen kan vara många. Det tänkta läkemedlet visar sig kanske inte ha den avsedda terapeutiska effekten eller visar sig ha en icke-acceptabel säkerhetsprofil. Det kan under utvecklingsarbetet också dyka upp alternativa terapier från andra bolag som visar sig vara mer attraktiva än det man själv håller på med. Detta är the name of the game i läkemedelsindustrin och något som alla läkemedelsbolag har att hantera.”

”CombiGenes ambition att bygga en bred portfölj syftar därmed bland annat till att minska risken i bolaget genom att inte lägga alla ägg i en korg. Det är inte konstigt att ett projekt inte klarar sig genom hela den prekliniska och kliniska utvecklingen. Tvärtom är det tyvärr något man kan förvänta sig. Det viktiga är att man så tidigt som möjligt kan konstatera att ett projekt inte har förutsättningar att bli en godkänd terapi. Ju tidigare detta upptäcks, desto mindre resurser har man lagt på projektet. God ekonomi, helt enkelt.”



Vår affärsmodell – principerna





"Vår ambition är att bygga en bred projektportfölj som innehåller projekt i flera av läkemedelsutvecklingens olika faser."

INTERVJU MED KARIN AGERMAN, CHIEF SCIENTIFIC OFFICER

Är det några särskilda sjukdomsområden eller indikationer CombiGene söker efter?

”Både ja och nej. Vi har sagt att vi först och främst söker AAV-baserade projekt eftersom det är denna typ av vektorer som vi har lång erfarenhet av. Vi har också sagt att vi gärna tar in projekt inom de områden vi är aktiva idag, det vill säga sjukdomar relaterade till det centrala nervsystemet och metabola sjukdomar.”

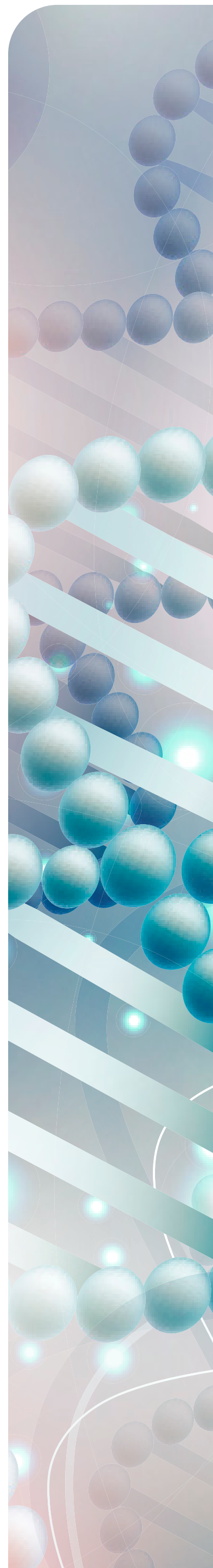
”Men vi har också sagt att vi inte på något sätt har låst oss till en specifik vektorteknologi eller ett specifikt sjukdomsområde. Genterapin rymmer ju så fantastiskt många möjligheter och det finns en rad sjukdomsområden och tillstånd som är potentiellt attraktiva för oss och vi har ett mycket brett synfält när vi utvärderar potentiella projekt. Kreativiteten i forskarvärlden är alldeles häpnadsväckande!”


Om vi vänder på frågan lite. Är ni primärt intresserade av sjukdomar som drabbar många människor eller kan ni också tänka er att utveckliga terapier för väldigt svåra sjukdomar som bara drabbar ett relativt fåtal personer?

”Jag tror du kan se svaret redan i vår nuvarande projektportfölj. CG01-projektet vänder sig till människor med epilepsi, vilket är en sjukdom som drabbar ett stort antal människor och där marknaden för en behandling har en mycket stor potential, inte minst i genterapisammanhang. CGT2-projektet å andra sidan utvecklas för det fåtal människor som drabbats av partiell lipodystrofi. Vi är med andra ord öppna för att arbeta med både

stora och små indikationer. Att terapier som riktar sig mot sjukdomar som drabbar många människor har en stor kommersiell potential säger sig självt, men även terapier som utvecklas för behandling av sällsynta sjukdomar kan vara kommersiellt intressanta.”

”I såväl EU som USA talar man om något som kallas för sÄrläkemedel. Med detta avses läkemedel som utvecklas just för behandling av sällsynta sjukdomar. Att utveckla terapier för dessa sjukdomar har inte i sig samma kommersiella potential som terapier som riktar sig mot vanligt förekommande sjukdomar och tillstånd. För att uppmuntra läkemedelsindustrin att trots detta utveckla terapier för dessa sjukdomar har myndigheterna tagit fram regelverk som syftar till att stimulera just denna typ av utveckling, så kallade sÄrläkemedel eller orphan drugs på engelska. Under utvecklingen av en behandling för sällsynta sjukdomar kan man ansöka om så kallad sÄrläkemedelsklassificering, vilket bland annat innebär stora kostnadsfördelar under utvecklingsarbetet. Om man sedan lyckas med sin utveckling och lyckas ta fram en marknadsgodkänd behandling kan man erhålla så kallad sÄrläkemedelsstatus med olika fördelar vad gäller pris och marknadsexklusivitet. Ur CombiGenes perspektiv är därmed terapier som utvecklas för såväl stora som små indikationer av intresse även rent kommersiellt.”



The background features a complex, abstract design with numerous glowing spheres in shades of blue, green, and white, connected by thin, white, curved lines. The overall aesthetic is clean and futuristic, with a soft, ethereal glow.

Då har jag bara två frågor kvar. Den första rör CombiGene som bolag. Det du presenterar här innebär ju om jag förstår saken rätt att CombiGene spanner bågen ganska rejält vad gäller framtiden för bolaget. Har ni börjat förbereda er för att hantera en betydligt större projektportfölj?

”Absolut har vi det. I våras anställde vi Alvar Grönberg som Senior Program Director och nyligen anställde vi Peter Ekolind som Chief Operating Officer och Birgitta Ståhl som Senior Director In-licensing. Birgitta kommer att vara mycket aktiv i arbetet att ta in nya projekt och genom att Peter tar över en del av mina arbetsuppgifter kommer även jag att ha mer tid att arbeta med olika aspekter av CombiGenes affärsutveckling.”

Då min sista fråga. CombiGene har trots att det är ett litet bolag lyckats attrahera högt kvalificerade personer med gedigen forskarutbildning och lång erfarenhet från betydligt större bolag. Vilken är er hemlighet?

”Jag vet inte om vi har någon särskild hemlighet, men jag tror att det är två saker som gör CombiGene till ett attraktivt bolag att arbeta i. För det första rymmer genterapin i sig många fantastiska möjligheter och om det är något som kännetecknar CombiGene som bolag är det att vi brinner för att hjälpa människor som drabbats av livsförändrande sjukdomar som idag saknar verksamma behandlingar. Vår andra fördel tror jag är storleken på bolaget. Det finns absolut fördelar med att arbeta i en stor organisation med alla de resurser som finns tillgängliga. Samtidigt har man mycket större möjligheter att påverka utveckling och riktning om man arbetar i ett mindre och mer snabbfotat företag. På CombiGene är vägen från idé till beslut mycket kort och vi arbetar alla fokuserat på att hjälpa människor som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar möjligheter till ett bättre liv genom nyskapande genterapier.”

”Vi brinner för att hjälpa människor som drabbats av livsförändrande sjukdomar.”

Denna intervju publicerades i sin helhet först av BioStock den 30 september 2022.

CombiGenes nya COO och bygga ett stort ge

● Peter Ekolind, tidigare Nordenchef på Getinge Group, är ny operativ chef för genterapibolaget CombiGene. BioStock kontaktade Ekolind för att få veta mer om hans ambitioner för bolaget samt hur han ser på en potentiell breddning av bolagets portfölj.

CombiGenes läkemedelskandidat CG01 utvecklas som en ny behandling mot läkemedelsresistent fokal epilepsi, en sjukdom som årligen drabbar cirka 47 000 patienter i USA, EU4, Storbritannien, Japan och Kina. Dagens behandlingsalternativ är endast symptomlindrande och kräver livslång behandling. CG01, däremot, syftar till att bota sjukdomen efter endast en eller ett par behandlingstillfällen.

CombiGenes nye COO kommenterar

Tidigare i höst tillträdde Peter Ekolind på deltid rollen som Chief Operating Officer på CombiGene, med ansvar för bolagets operativa verksamhet.

Peter, kan du berätta lite om dina professionella erfarenheter?

”Jag har arbetat inom Life Science under större delen av mitt yrkesverksamma liv. Under de första 15 åren var jag verksam inom läkemedelsindustrin i Sverige och Norge, framför allt inom försäljning, marknadsföring och ledning. Därefter växlade jag till medtech när jag 2001 började som vd och Nordenchef för Getinge Sverige AB. Därefter har jag arbetat som vd i mindre entreprenörsdrivna bolag som Airsonett och startup-bolaget Avidicare. Under de senaste åren har jag arbetat som COO på Xintela AB (publ) på konsultbasis.”

Vad gjorde dig intresserad av rollen som COO för CombiGene?

”Under senare tid har mitt intresse alltmer fokuserat på bolag som är verksamma inom cellterapi och genteknik. Xintela fokuserar på stamceller och målriktad cancerterapi, CombiGene satsar på genterapi som idag är ett expansivt och dynamiskt område. Jag tror att det ligger en enormt stor möjlighet i att behandla svåra, plågsamma och idag obotliga sjukdomar genom att ’hjälpa’ kroppen på vägen genom till exempel genterapi. CombiGenes affärsmodell är intressant och genom avtalet med Spark Therapeutics för epilepsiprojektet visar bolaget att det har en välutvecklad förmåga att teckna avtal med företag inom Big Pharma. När COO rollen blev aktuell på CombiGene blev jag intresserad av utmaningen och sökte jobbet.”

Baserat på dina erfarenheter, hur skiljer sig arbetssätt och strukturer mellan större globala läkemedelsbolag jämfört med mindre och kanske mer snabbfotade bioteknikbolag som CombiGene?

”På många sätt såklart. Resurser i form av personal och budget är en självklar skillnad, men storleken på de globala läkemedelsbolagen leder även till att utvecklingen tar tid, ibland väldigt lång tid. Det CombiGene saknar i resurser kan till viss del kompenseras med en snabbhet i beslutfattande och tempo i utvecklingen, vilket även gäller beslut i frågor som inlicensiering av nya projekt.”

CombiGenes nuvarande affärsfokus är att expandera och inlicensiera ytterligare genterapiprojekt. Hur ser du på betydelsen av denna process?

”Den är ju helt central för bolaget. Affärsmodellen bygger på att CombiGene kan identifiera och attrahera nya genterapiprojekt i tidigt skede där det finns en kommersiell affärsmöjlighet. För att lyckas med detta krävs det ett kompetent och aktivt team. Teamet har jag redan har fått stifta bekantskap med och ser framemot att få arbeta tillsammans med dem.”

Om vi blickar framåt, hur vill du vara med och utveckla CombiGenes verksamhet på ett par års sikt?

”På några års sikt ser jag att det finns en större och bredare portfölj av genterapiprojekt i bolaget. Med fler projekt kommer behovet av en allt större organisation och där ser jag att jag med min bakgrund skall kunna bidra till att utveckla bolaget. Fortsatt rekrytering av rätt kompetens kommer att vara avgörande för bolagets framtida utveckling.”

”På några års sikt ser jag att det finns en större och bredare portfölj av genterapiprojekt i bolaget.”

O vill vara med enterapibolag





Birgitta Ståhl, CombiGenes nya Senior Director In-licensing

Om vikten av att balansera risker och möjligheter

● Tidigare i höstas anslöt Birgitta Ståhl till CombiGene-teamet som bolagets Senior Director In-licensing. Birgitta kommer därmed få en central roll i CombiGenes arbete att hitta nya projekt som kan vara intressanta för inlicensiering. Genevägen kontaktade Birgitta för att samtala om detta arbete och hon ser på det faktum att all läkemedelsutveckling tar tid, kostar stora summor pengar och risken att ett projekt inte når hela vägen till marknad är betydande.

Välkommen till CombiGene och Genevägen! Kan du berätta lite om dig själv?

”Tack för det! I botten har jag en apotekarexamen från Uppsala universitet och en MBA från University of Westminster i London. Jag har under många år arbetat inom life science-branschen inom läkemedelsutvecklingens alla stadier. Jag kommer närmast från Oncopeptides AB där jag var Global Project Director. Tidigare har jag arbetat inom Karolinska Developments portföljbolag och haft olika befattningar på Novartis och Pfizer. Jag hoppas att kunna utnyttja all den breda erfarenhet och kunskap jag samlat på mig inom life science när jag nu kommer att söka och utvärdera nya projekt för inlicensiering.”

All läkemedelsutveckling tar lång tid och är mycket kostsam. Dessutom finns alltid risken att ett projekt inte kommer hela vägen till marknadsgodkännande. Hur ser du på detta?

Det finns precis som du säger betydande risker i all läkemedelsutveckling. Frågan är hur man ska hantera detta. Om vi börjar med att titta på den affärsmässiga avvägningen så har vi en vågskål med de kostnader

och risker du nämnde. I den andra vågskålen har vi de potentiella intäkterna från läkemedel som når hela vägen till marknad. För alla läkemedelsbolag gäller det att över tid hantera de två vågskålarna så att intäktskålen väger tyngst. Lite filosofiskt kan man säga att det gäller att så tidigt som möjligt identifiera och plocka bort de projekt som inte har förutsättningar att nå hela vägen till marknad. Att på detta sätt tidigt avveckla projekt som visat sig sakna livskraft ska inte ses som ett misslyckande utan är tvärtom grunden i det vi brukar kalla portfolio management. Ju tidigare man kan göra detta, desto mindre resurser har man förbrukat.”

”Vårt slutgiltiga mål är ju att ta fram terapier som på ett avgörande sätt kan förbättra livet för människor som drabbats av svåra livsförändrande sjukdomar. Ju effektivare vi kan fokusera våra resurser på livskraftiga projekt, desto bättre är förutsättningarna att vi faktiskt lyckas!”

”Vårt slutgiltiga mål är ju att ta fram terapier som på ett avgörande sätt kan förbättra livet för människor.”

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, 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