



## En andra utbetalning om 1,21 miljoner EUR

från Horizon 2020 till CombiGene

Läs mer på sidan 3



## Affärsutveckling i centrum för CombiGene

För relationer med Big Pharma-bolag

Läs mer på sidan 5

# GENEVÄGGEN

NYHETER FRÅN COMBIGENE AB

NUMMER 4 • 2019

### I DETTA NUMMER:

- Ledare..... sid 2*
- Genterapi – framtidens sjukvård ..... sid 2*
- En andra utbetalning från EU ..... sid 3*
- Interuju med Annika Ericsson..... sid 4*
- Affärsutveckling i centrum ..... sid 5*
- Akademiska framgångar ..... sid 6*
- Cobra flyttar fram positionerna..... sid 7*



**CombiGene**  
The gene therapy explorer



## LEDARE

### Tillbakablick på ett framgångsrikt år

När 2019 nu närmar sig sitt slut är det ett bra tillfälle att göra en kort tillbakablick på det gångna året.

2019 har varit ett mycket bra år för CombiGene. Vårt epilepsiprojekt CG01 har under året uppnått flera betydande milstolpar. Förvärvet av Panion ger oss fullständig kontroll över samtliga immateriella tillgångar i CG01-projektet, vilket kommer att vara mycket värdefullt den dag vi inleder konkreta förhandlingar med potentiella partners. Avtalet med CRO-bolaget Northern Biomedical Research innebär att vi har en utstakad väg mot att genomföra toxikologi- och säkerhetsstudier, vilka är en förutsättning för att kunna påbörja studier i människa. Sist men definitivt inte minst har vi tecknat avtal med CDMO-bolaget (kontraktstillverkare) Cobra Biologics avseende GMP-produktion av CG01 för kliniska studier och framtida kommersiell produktion. Produktionskapacitet börjar bli en trång sektor inom genterapin och det känns väldigt bra att vi redan nu har sett till att vi har den leverantör vi behöver för att inleda kliniska studier.

Under 2019 har vi också breddat vår verksamhet med ytterligare ett genterapi-projekt – lipodystrofi-projektet som vi inlicensierat från Lipigon. Detta innebär nu att CombiGene rör sig inom två för genterapi mycket intressanta områden, centrala nervsystemet och det metabola systemet.

2019 har med andra ord varit ett år då CG01-projektet avancerat på ett mycket bra sätt. Vi har nu alla bitar på plats för att kunna ta de sista avgörande stegen mot de första studierna i människa. Lägg där till att vi nu breddat verksamheten med ytterligare ett projekt, något som vi arbetat länge och intensivt med.

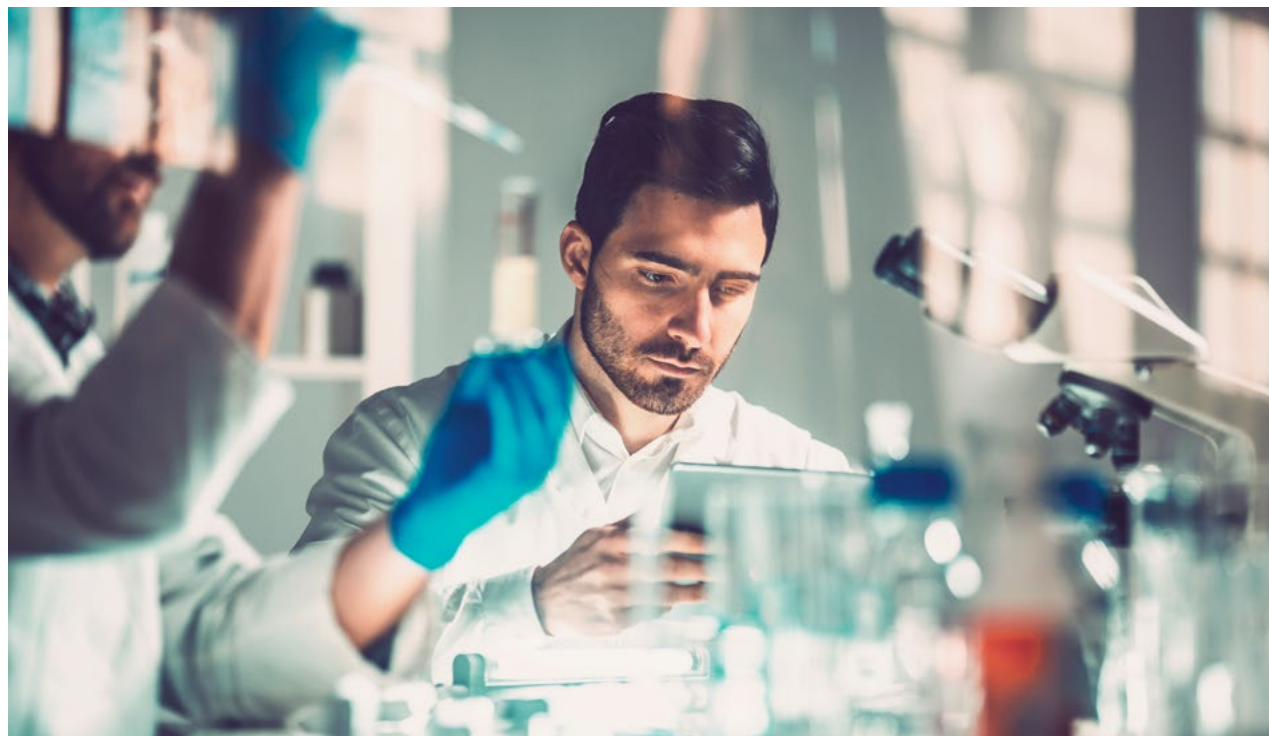
Med dessa ord vill jag tacka alla mina kollegor på CombiGene, alla våra partners runt om i världen och, med ett mycket varmt hjärta och stor tacksamhet, alla våra aktieägare. Utan er hade inga framgångar varit möjliga!

Jan Nilsson  
Vd



## GENTERAPI - FRAMTIDENS SJUKVÅRD

# CombiGene är en integrerad del av det dynamiska genterapeutiska landskapet



■ *Genterapi är ett av läkemedelsindustrins allra hetaste områden just nu. Den främsta anledningen är naturligtvis de stora medicinska förhoppningar som genterapin väcker. Plötsligt finns det hopp för patienter som lider av svåra sjukdomar att kunna få verksamma behandlingar som på ett avgörande sätt förbättrar deras livskvalitet och möjligheter att leva livet utan begränsningar.*

### 370 läkemedelskandidater i klinisk fas

Det bedrivs idag 370 kliniska studier (ARM Q3, 2019) inom genterapiområdet, varav 32 i klinisk fas III. Många av de läkemedelskandidater som är under utveckling avser att behandla svåra och sällsynta sjukdomar som idag saknar verksamma terapiformer. Livskvaliteten för ett mycket stort antal människor kommer därmed att kunna förbättras avsevärt. För vissa sjukdomar har genterapin potential att vara skillnaden mellan liv och död.

31 augusti 2017 godkände den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA för första gången en genterapi, närmare bestämt en behandling för leukemi. Sedan dess har ytterligare genterapier

fått marknadsgodkännande och antal godkända behandlingar med genterapi förväntas öka kraftigt under kommande år. Det finns med andra ord anledning att anta att genterapi kommer att spela en stor roll i framtidens sjukvård.

### Betydande kommersiell potential

De medicinska framgångarna innebär också potentiellt stora kommersiella framgångar för de bolag som lyckas utveckla verksamma genterapier. Tron på genterapins kommersiella bärkraft återspeglas bland annat i de betydande investeringar som görs i området – under de första nio månaderna 2019 uppgick de totala investeringarna till 5,6 miljarder USD (ARM Q3, 2019).

Som Nordens ledande genterapi-bolag är CombiGene en integrerad del i detta dynamiska landskap med två spännande projekt, CG01 som utvecklas för att behandla läkemedelsresistent fokal epilepsi och det projekt som nyligen inlicensierades från Lipigon för behandling av den sällsynta sjukdomen lipodystrofi.

### CG01 utvecklas för att behandla en stor grupp patienter

CG01-projektet skiljer sig från många andra genterapiprojekt på så sätt att antalet potentiella patienter är mycket stort. Enbart i USA tillkommer ungefär 14 000 läkemedelsresistenta patienter med en fokal epilepsi varje år som skulle kunna vara kandidater för kirurgi. CombiGene gör

#### GENEVÄGEN REDAKTION

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

**Produktion:**  
**Form:** Wiberg & Co Reklambyrå AB  
**Texter:** Michael Vallinder

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

Bolaget är publikt och noterat på Nasdaq First North Growth Market.  
[www.combigene.com](http://www.combigene.com)





**Eftersom lipodystrofi är en sällsynt sjukdom finns det goda möjligheter för en framtida läkemedelskandidat att erhålla så kallad sär läkemedelsklassificering.**

bedömningen att det är realistiskt att 10–20 procent av dessa patienter skulle kunna behandlas med bolagets läkemedelskandidat. Att leva med en obehandlad epilepsi innebär stora inskränkningar i vardagen och en ständig oro att råka ut för plötsliga och oförutsägbara epileptiska anfall. Det stora antalet potentiella patienter innebär också att den kommersiella potentialen i projektet är hög. CombiGene har påbörjat genomförandet av de avslutande delarna av det prekliniska programmet för att därefter kunna inleda de första studierna i människa.

#### **Med lipodystrofi projektet expanderar CombiGene till ytterligare ett terapeutiskt område**

Lipodystrofi projektet befinner sig i tidig preklinisk fas. Till skillnad från

CG01, som vänder sig till en stor patientpopulation, riktar sig detta projekt till en liten grupp patienter som har den sällsynta sjukdomen partiell lipodystrofi, som idag saknar verkamma behandlingar. Eftersom lipodystrofi är en sällsynt sjukdom finns det goda möjligheter för en framtida läkemedelskandidat att erhålla så kallad sär läkemedelsklassificering. Sär läkemedel är ett sätt från myndigheternas sida, bland annat amerikanska FDA och europeiska EMA, att uppmuntra läkemedelsindustrin att utveckla läkemedel för sällsynta sjukdomar. Det finns flera stora fördelar med att erhålla sär läkemedelsklassificering. Övergripande kan man säga att utvecklingen kan gå fortare och till lägre kostnad. En sär läkemedelsklassificering innebär också att möjligheten att nå marknaden är större och priset

på det godkända läkemedlet är oftast högre jämfört med läkemedel för vanligt förekommande sjukdomar.

“Under det senaste året har CombiGene tagit betydande steg framåt”, säger CombiGenes vd Jan Nilsson. “Vi har i CG01 ett projekt, som vänder sig till en mycket stor grupp patienter, vilket är relativt ovanligt för ett genterapi projekt. Vad som är särskilt viktigt att notera är att vi i CG01 projektet inte bara utvecklar en GMP-klassad produktionsmetod, vilket är en utmaning i alla genterapi projekt, vi har också tecknat ett Master Service Agreement med Cobra Biologics som avser produktion av CG01 för såväl kliniska studier som kommersiell produktion av ett i framtiden myndighetsgodkänt CG01-läkemedel. Lägg till detta vårt lipodystrofi projekt med dess potential

att bli ett sär läkemedel så ser situationen ännu intressantare ut. Båda våra projekt befinner sig också inom mycket intressanta områden. Med CG01 projektet bygger vi stor kunskap om det centrala nervsystemet och med lipodystrofi projektet kommer vi att bygga upp en ansenlig kunskap om genterapi och det metabola systemet. Sammantaget gör detta att jag ser mycket positivt på framtiden för CombiGene som Nordens ledande genterapiföretag.”

## **CombiGene får en andra utbetalning om 1,21 miljoner EUR från Horizon 2020**

I maj 2018 tog Horizon 2020, EU:s ramprogram för forskning och utveckling, beslutet att satsa 3,36 miljoner EUR på CombiGenes fortsatta utveckling och kommersialisering av genterapi projekt CG01. Den initiala betalningen från Horizon 2020, som kom under hösten 2018, uppgick till 1,51 miljoner EUR. Den andra betalningen uppgick till 1,21 miljoner EUR och betalades ut i november i år efter en noggrann genomgång av projektet av EU och deras externa granskare.

“Utbetalningen från Horizon 2020 är en bekräftelse på de framsteg som gjorts inom CG01 projektet, inte

minst det arbete vi utför tillsammans med CGT Catapult för att utveckla en GMP-anpassad produktionsmetod”, säger Karin Agerman, Chief Research and Development Officer på CombiGene. “Utöver att vi fått vår projektrapport godkänd och pengarna utbetalade, har vi också fått positiv feedback och värdefulla rekommendationer från Horizon 2020:s externa granskare. Att vårt epilepsiprojekt är ett av de projekt som Horizon 2020 valt att satsa på betyder mycket för CombiGene. Utöver det kapital som tillförs projektet är det också en betydande kvalitetsstämpel på vårt utvecklingsarbete och våra kommersiella möjligheter.”



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



## INTERVJU MED ANNIKA ERICSSON, SENIOR PROJECT MANAGER

# Genergi på CombiGene!

■ *Det saknas inte energi på CombiGene! Den slutsatsen kan man snabbt dra efter att ha pratat med Annika Ericsson, Senior Project Manager på bolaget. Annika har inte bara doktorerat i genterapi vid Karolinska Institutet, hon är också en av världens absolut främsta swimrun-atleter med vinster i den mest prestigefyllda tävlingen Ö till Ö utanför Stockholm fyra år i rad.*

När Genevägen pratar med Annika har hon precis återvänt från en världscupstävling i swimrun på Malta där hon kom trea i mixklassen tillsammans med sin tillfällige partner Stefano Prestinoni.

### Låt oss börja med dina akademiska meriter. Kan du kort beskriva dem?

”Absolut. Jag doktorerade vid Karolinska Institutet (KI) på ett projekt om akut intermitterent porfyri, även kallat Arjeplogsjukan. Porfyri är ett samlingsnamn för sällsynta sjukdomar som drabbar hemsynten. Hem ingår bland annat i hemoglobin. Cirka en person på 10 000 har Arjeplogsjukan. Symtomen är varierande och omfattar bland annat buksmärter, olika symtom från nervsystemet och ibland även psykiska symtom. Forskningen vid KI gav mig djupa kunskaper om genterapi även om den ännu inte utnyttat i en verksam behandling av sjukdomen. Efter att jag doktorerat arbetade jag som postdoc vid Mount Sinai School of Medicine i New York och har därefter under 14 år varit verksam inom bioteknik branschen.”

### Hur ser en typisk dag ut i ditt liv?

”Jag lever ett ganska disciplinerat liv, tror jag man kan säga. Dagen inleds och avslutas med träning. På morgnarna simmar jag och cyklar sedan till jobbet. Dagen ägnas sedan åt mitt arbete på CombiGene där jag ansvarar för utvecklingen av det spännande lipodystrofi projektet som vi inlicenserade tidigare i höstas och fortsatt arbete med CG01. När jag kommer hem efter arbetsdagens slut är det min familj som står i centrum. Min man arbetar på Ericsson och vi har två döttrar tillsammans, som båda är något av

fotbollsfantaster. Yngsta tjejen simtävlar glädjande nog fortfarande. Dagen avslutas som regel med en löprunda.”

### Det låter som ett hektiskt schema!

”På ett vis är det väl det. Men samtidigt får jag så mycket energi. Främst av min familj, så klart, men mitt arbete och min träning fyller också på mina energidepåer. Jag ser det inte som jag offerar något, utan tvärtom att jag får så väldigt mycket glädje från allt jag gör.”

### Idrottsintresset i Sverige är stort. Kan du beskriva din karriär som swimrun-atlet?

”Det gör jag gärna. Swimrun är en tävlingsform som har sitt ursprung i Stockholm och som nu snabbt sprider sig över världen. Den ursprungliga tävlingen Ö till Ö i Stockholm består av 6,5 mils löpning och en mils simning. Förra året, när jag vann tävlingen för fjärde gången i rad, lyckades jag och min partner Kristin Larsson som första damlag komma under niotimmarsstrecket. Vi är fortfarande enda damlag som klarat den gränsen. Det säger kanske inte så mycket för en oinvid, men kan nog jämföras med friidrottens drömmil, dvs att springa en engelsk mil under fyra minuter, något som gäckade världseliten under många år innan engelsmannen Roger Bannister klarade det 1954.”

### Du började din anställning på CombiGene för ungefär ett år sedan, 12 december 2018 närmare bestämt. Hur vill du beskriva bolaget nu när du blivit lite varmare i kläderna?

”CombiGene är ett fantastiskt spännande bolag i en fantastiskt spännande bransch. Om man är intresserad av



Annika Ericsson har tillsammans med sin träningspartner Kristin Larsson vunnit Ö till Ö tre gånger i rad och Annika och Kristin är det första och hittills enda damlaget som kommit under niotimmarsstrecket. Totalt har Annika vunnit Ö till Ö fem gånger.

bioteknik är genterapi bland de absolut mest intressanta områdena, inte minst för att det vi gör har potential att förbättra livet för så många människor. Lipodystrofi projektet som är det jag fokuserar mycket på nu kan ju komma att erbjuda en verksam behandling för

patienter som idag saknar just detta. Jag vet att detta är något som motiverar alla som arbetar på CombiGene. Vi vill verkligen vara med att utveckla sjukvården och bidra till att patienter världen över kan leva sina liv fullt ut!”

## Om porfyri

Porfyri är ett samlingsnamn för åtta ärftliga sjukdomar, orsakade av brist på enzymer som medverkar vid bildandet av det röda blodfärgämnet hem. Namnet kommer från det grekiska ordet porphyros, som betyder purpur. Akut intermitterent porfyri (AIP) är den vanligaste porfyriformen i Sverige och kan ge buksmärter, symtom från nervsystemet och ibland psykiska symtom. På lång sikt kan även lever och njurar skadas.

Behandlingen av akut intermitterent porfyri består i att förebygga och behandla de akuta attackerna. Med regelbundna kontroller av blodtryck, njurar och lever går det att undvika komplikationer på lång sikt.

I den medicinska litteraturen finns akut intermitterent porfyri beskriven sedan slutet av 1800-talet, men i Sverige uppmärksammades sjukdomen först i början av 1900-talet av doktor Einar Wallquist i Arjeplog. Lokala benämningar har därför förekommit, men den svenske invärtesmedicinaren Jan Waldenströms studier av personer med akut intermitterent porfyri fick så stort internationellt genomslag att sjukdomen kom att kallas Swedish porphyria. Jan Waldenström myntade dock namnet akut intermitterent porfyri, eftersom sjukdomen uppträder i akuta attacker med varierande intervall.

Källa: [www.socialstyrelsen.se](http://www.socialstyrelsen.se)



## PROJEKT OCH AKTIVITETER

# Affärsutveckling står alltid i centrum för CombiGene

■ I centrum för CombiGenes verksamhet står självfallet bolagets två projekt, CG01 som utvecklas för att behandla läkemedelsresistent fokal epilepsi och det under hösten inlicensierade lipodystrofi projektet. Utöver arbetet med projekten bedriver CombiGene också ett kontinuerligt affärsutvecklingsarbete för att bygga och upprätthålla relationer med de Big Pharma-bolag som i framtiden kan vara lämpliga partners för att ta CombiGenes projekt vidare genom avslutande kliniska studier och kommersialisering.

Genevägen får en kort pratstund med vd Jan Nilsson för att prata affärsutveckling.

## Går det att kort beskriva hur CombiGene bedriver sitt affärsutvecklingsarbete?

”Jag kan i alla fall göra ett försök”, svarar Jan. ”Att utveckla läkemedel tar lång tid och innebär alltid någon form av ekonomisk risk. Vad gäller situationen för oss på CombiGene kan man säga att ju längre vi driver våra projekt, desto högre blir deras potentiella värde. Vad gäller vårt epilepsiprojekt CG01 har vi flera tänkbara Big Pharma-partners som vi för en löpande dialog med. Vi tar kort sagt varje tillfälle i akt för att uppdatera dem om hur projektet utvecklas. Det finns ett tydligt intresse från ett antal företag, men gemensamt för dem alla är att de helst vill se resultat från studier i människa innan de är beredda att ingå partnerskap. Detta är inte på något sätt överraskande utan följer det scenario som vi hela tiden arbetat efter.” Jan gör en kort paus. ”Sedan finns ju den motsatta situationen i vår affärsutveckling, dvs där vi vill inlicensiera forskningstillgångar för att driva dem genom preklinisk fas och vidare in i tidiga studier i människa. Lipodystrofi projektet som vi inlicensierade från Lipigon tidigare i höstas är ett exempel på detta.”

## Kan vi se lite mer konkret på vilka aktiviteter som CombiGene deltagit i under året.

”Gärna det! 2019 har varit ett intensivt affärsutvecklingsår. I april deltog jag och Annika Ericsson (Senior Project Manager) på Cell & Gene Meeting on the Med i Barcelona, Spanien, där vi träffade ett antal CRO-bolag, representanter för Big Pharma och även ett antal Life Science-investerare. I april var Karin Agerman (Chief Research and Development Officer) inbjuden att tala vid den årliga svenska konferensen 4:th Annual ATMP conference i Göteborg och höll den uppskattade presentationen Turning research into clinical use – gene therapy for treatment resistant epilepsy. I maj var jag inbjuden att presentera på AstraZenecas konferens AZ Exchange och i juni var CombiGenes styrelseordförande Arne Ferstad och jag på BIO 2019 i Philadelphia, USA, där vi hade möten med potentiella partners, investerare och en amerikansk patientorganisation. Hösten avslutades med att jag deltog i NLS dagarna 10-12 september i Malmö med flera intressanta möten med investerare och Big Pharma-bolag. I november var jag också på BioEurope i Hamburg med ytterligare möten med investerare och Big Pharma-bolag.”



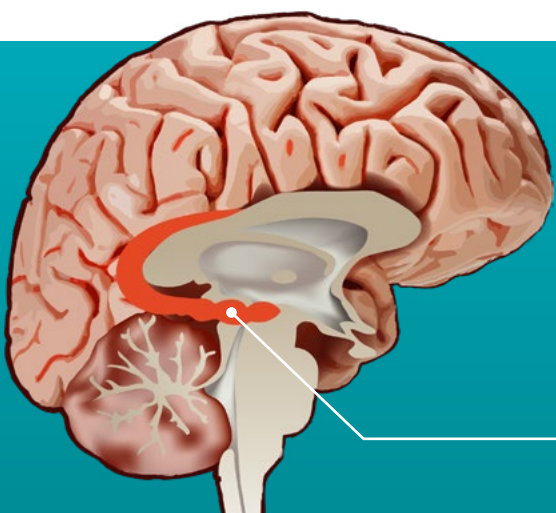
**”På CombiGene tar vi varje tillfälle att träffa bolag som är intressanta för oss och som vi ser som möjliga partners längre fram”**

## Precis som Jan avslutade denna långa redogörelse tittar Karin Agerman och Annika Ericsson in i rummet.

”Glöm inte att jag hade en presentation om CombiGene på Biotech-Hanse Forum 2019 13:e juni i Stockholm”, säger Annika. ”Och att Annika och jag var på den årliga konferensen European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT) i Barcelona i oktober”, lägger Karin till.

## Det låter som ett intensivt år!

”På många sätt har det varit det, men det är också så det ser ut. På CombiGene tar vi varje tillfälle att träffa bolag som är intressanta för oss och som vi ser som möjliga partners längre fram. Att få till en utlicensieringsaffär är något som tar lång tid och kräver kontinuerlig kommunikation. Samtidigt är det fantastiskt stimulerande och allt roligare ju längre vi kommer med våra projekt.”



**Vår CRO-partner måste kunna administrera läkemedelskandidaten CG01 in i hippocampus, dvs den del av hjärnan som behandlas med CG01**

**HIPPOCAMPUS**

INBLICKEN

# Akademiska framgångar för CombiGenes vetenskapliga grundare

■ *Professor Merab Kokaias och docent David Woldbyes konceptverifieringsstudie publiceras i Molecular Therapy: Methods & Clinical Development*

Den 19 februari 2018 presenterade professor Merab Kokaia och David Woldbye, CombiGenes vetenskapliga grundare, slutliga data från den prekliniska konceptverifieringsstudien av CGO1 som genomfördes 2017. Studien bekräftade att CGO1 har kliniskt relevanta anfallshämmande effekter i form av såväl kortare som färre anfall. Studiens resultat presenteras efter referentgranskning nu i *Molecular Therapy: Methods & Clinical Development*.

Studien var utformad för att återspegla ett troligt kliniskt scenario för behandling av epilepsi i människa. Med hjälp av magnetröntgen lokaliserades var i hippocampus, dvs den del av hjärnan där de epileptiska anfällen uppstod, som behandlingen skulle riktas mot. Därefter genomfördes en behandling med CGO1 i det epileptiska fokuset. Utfallet av behandlingen analyserades med video-EEG för att observera anfall och mäta hjärnans elektriska aktivitet

vid epileptiska anfall. Man genomförde även en histologisk analys (vävnadsanalys) för att få detaljerade svar kring avvikelser från frisk hjärnvävnad och kartlägga hur CGO1 uttrycks i hjärnvävnad.

Utfallet av studien visar att CGO1 har kliniskt relevanta anfallshämmande effekter. Anfällen blev både färre och kortare och några av djuren blev helt anfallsfria av behandlingen.

**För vidare läsning:**

Artikel om konceptverifieringsstudien finns tillgänglig här:

[https://www.cell.com/molecular-therapy-family/methods/fulltext/S2329-0501\(19\)30102-0](https://www.cell.com/molecular-therapy-family/methods/fulltext/S2329-0501(19)30102-0)







## Kalendarium

### TIDIGARE

10-12 December 2019

**Gene Therapy for  
Neurological Disorder, Boston**

<https://gtxn-summit.com>

11-13 November 2019

**BIO-Europe, Hamburg**

<https://ebdgroup.knect365.com/bioeurope/>

4 November 2019

**Stora Aktiedagen, Göteborg**

<https://www.aktiespararna.se/aktiviteter/stora-aktiedagen-goteborg-0>

22-25 Oktober 2019

**European Society of Gene  
and Cell Therapy 27th  
annual congress, Barcelona**

<https://www.esgct.eu/congress/barcelona-2019.aspx>

## Alla nyheter på ett ställe

Vi vill gärna delge dig så mycket som möjligt om vad som händer i bolaget. Med CombiGenes digitala nyhetsbrev kan du ta del av alla våra nyheter – direkt från källan.

Anmälan för prenumeration sker på vår webbplats där du registrerar din e-postadress du önskar få nyheterna till. Det är helt kostnadsfritt, och du kan enkelt avsluta din prenumeration när du vill.

På vår webbplats finner du dessutom finansiella rapporter, pressmeddelanden och alla föregående nummer av Genevägen. Allt bekvämt samlat på **combigene.com**

**Anmäl dig här!**  
<https://combigene.com/prenumerera/>



# CombiGenes CDMO-partner Cobra flyttar fram positionerna

CombiGenes CDMO-partner Cobra Biologics har bråda dagar. För att möta den ökande efterfrågan på GMP-tillverkning bygger Cobra Sveriges första tillverkningsenhet för produktion av plasmid-DNA för genterapi. I november kom nyheten att Cognate BioServices förvärvar Cobra för att komplettera sin egen tillverkning av cell och cell medierade genterapier.

För CG01-projektet innebär detta inga förändringar. Överenskomna tidsplaner och produktionsvolymerna ligger fast och Cognate BioServices förvärv av Cobra visar tydligt att CombiGene valt en av världens främsta tillverkare av genterapiprodukter och att CombiGene nu har tillgång till en världsledande infrastruktur.

cobra:bio

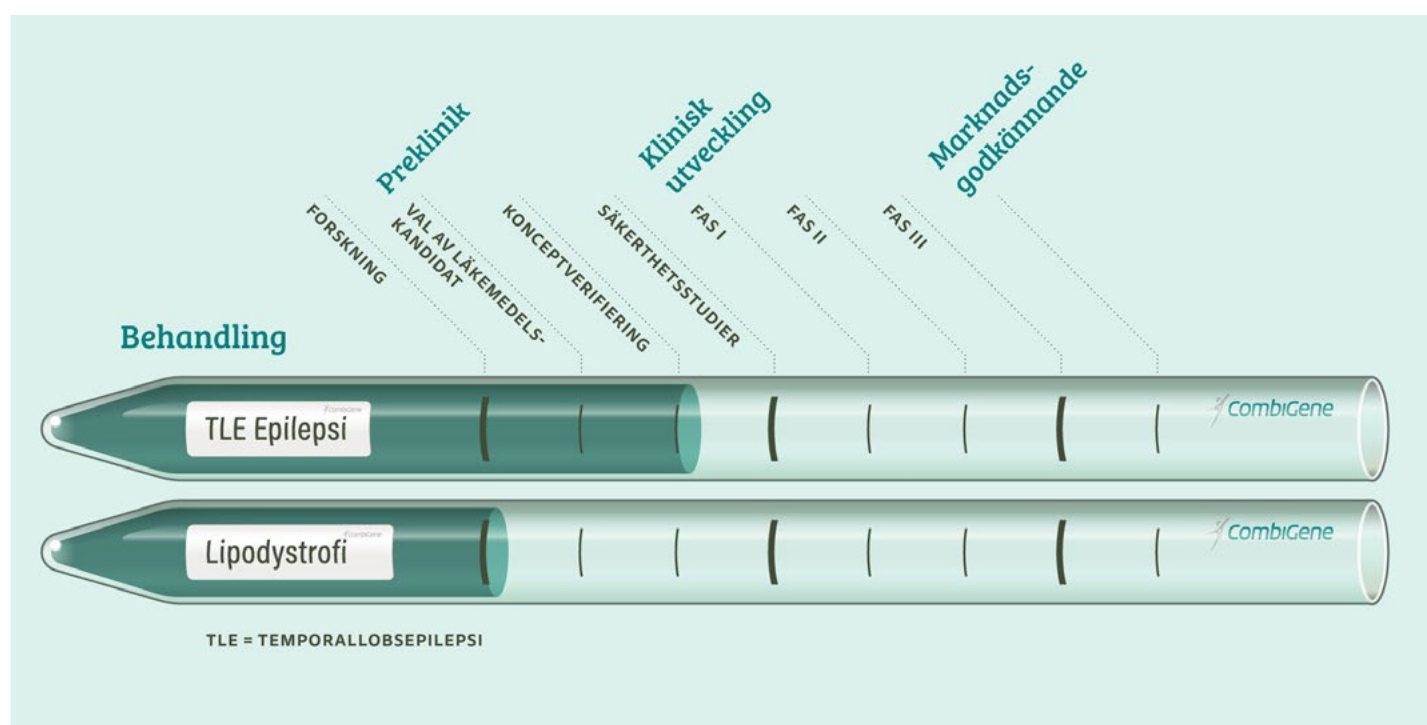
## Cobra Biologics

*Cobra Biologics är en ledande internationell kontraktstillverkare (Contract Development and Manufacturing Organisation, CDMO) som utvecklar och tillverkar biologiska och farmaceutiska produkter för prekliniska och kliniska prövningar samt för framställning av kommersiella produkter och läkemedel. Cobra hyser stor expertis inom produktion av DNA, virala vektorer, mikrobiota och tekniska proteiner. Företaget är baserat i Keele Science Park, Storbritannien samt i Sverige i Matfors.*

## PROJEKTÖVERSIKT

### CombiGene går från ett utvecklingsstadium till nästa

I CG01-projektet utvecklar vi tillsammans med brittiska CGT Catapult produktionsmetod för vår läkemedelskandidat och vi har nyligen valt både CDMO- och CRO-partner. Detta innebär att vi tagit flera riktigt betydande steg framåt i CG01-projektet. Vi har också inlicensierat ett nytt genterapiprojekt som syftar till att utveckla en behandling för den sällsynta sjukdomen lipodystrofi.



TLE = TEMPORALLOBSEPILEPSI



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



# 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 CG01 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 – lipodystrofi projektet. 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**

*The gene therapy explorer*

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

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