

# Genterapin fortsätter att flytta fram positionerna

FDA:s Advisory Committee rekommenderar enhälligt att Luxturna från amerikanska genterapibolaget Spark Therapeutics ska godkännas för behandling av en ovanlig form av ögonsjukdomen retinitis pigmentosa

Retinitis pigmentosa är en genetisk sjukdom. Symptom utgörs bland annat av ofrivilliga ögonrörelser, tunnelseende och avsaknad av mörkerseende. Sjukdomen kan leda till fullständig blindhet. Det har tidigare inte funnits några effektiva behandlingsmetoder, men rekommendationen från FDA:s Advisory Committee innebär sannolikt att FDA (det amerikanska läkemedelsverket) kommer att godkänna Luxturna för användning på den amerikanska marknaden.

Om Luxturna får slutgiltigt godkännande av FDA blir det den första godkända genterapin för behandling av en genetisk sjukdom i USA. Behandlingen kan potentiellt utföras vid ett enskilt tillfälle och ha en livslång effekt hos patienten.

Luxturna har genomgått fyra år av kliniska studier. Inga genterapirelaterade biverkningar har identifierats. Ett fåtal biverkningar har uppkommit i samband med det kirurgiska ingrepp vid vilket den genterapeutiska behandlingen administrerades.

Rekommendationen från FDA:s Advisory Committee att godkänna Luxturna är den andra stora framgången på kort tid för genterapin. I augusti 2017 godkände FDA Kymriah från läkemedelsbolaget Novartis för behandling av vissa pediatrika patienter och ungdomar med en behandlingsresistent form av akut lymfatisk leukemi.

## Till Sparks pressrelease:

<http://ir.sparktx.com/phoenix.zhtml?c=253900&p=irol-newsArticle&ID=2306441>

## Till Socialstyrelsen info om sjukdomen:

<http://www.socialstyrelsen.se/ovanligadiagnoser/leberskongenitalaamauros>

---

## Om CombiGene AB

CombiGene har genom att kombinera framsteg inom neurovetenskap och modern genteknik utvecklat en behandlingsmetod som i prekliniska studier visat sig kunna förhindra epilepsianfall. Bolaget fokuserar i dagsläget på att vidareutveckla denna behandlingsmetod så att den kan komma epilepsipatienter tillgodo, men metoden kan ha potential att utvecklas så att den även kan användas mot andra neurologiska sjukdomar. CombiGene har kontor på Medicon Village i Lund och bygger på forskningsresultat från Lunds Universitet och Köpenhamns universitet. Bolaget är publikt och är noterat på AktieTorget. [www.combigene.com](http://www.combigene.com).

## För ytterligare information:

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

**MER FRÅN BOLAGET är ett nyhetsbrev från CombiGene som innehåller allmänna nyheter och information som inte bedöms som kurspåverkande. Fler MER FRÅN BOLAGET och PRESSMEDDELANDEN finns på [www.combigene.com](http://www.combigene.com)**

---

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

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