

# GENEVÄGEN

NYHETER FRÅN COMBIGENE AB

NUMMER 5 • 2018

## CombiGene – Världsledande svenskt genterapibolag

### I DETTA NUMMER:

- Utformning av den första kliniska studien ..... sid 2*
- Johan Hyllnér coachar CombiGene ..... sid 2*
- Ett litet bolag med många styrkor ..... sid 3*
- CG01 – uppdatering hösten 2018 ..... sid 3*
- Kalendarium ..... sid 4*

 **combiGene**  
The gene therapy explorer

## CombiGene väl positionerat för framtiden

2018 börjar gå mot sitt slut och även om det är för tidigt att summera hela året tänkte jag tillåta mig att i denna ledare blicka såväl bakåt som framåt. Sammantaget har 2018 varit ett bra år för CombiGene. De främsta höjdpunkterna var självklart de positiva finala resultaten från vår proof-of-concept studie under inledningen av året, utvecklingsavtalet med CGT Catapult, anslaget från Horizon 2020 och den mycket framgångsrika nyemissionen som vi genomförde under september månad. Bland årets höjdpunkter vill jag också nämna rekryteringen av vår forsknings- och utvecklingschef Karin Agerman. Karin har genom sina djupa kunskaper, sin energi och sin vilja redan betytt mycket för utvecklingen av vårt bolag.

Tack vare årets framgångar har vi kunnat etablera en mycket stark position för CombiGene. Vår prekliniska forskning är nu avslutad och vi har tagit det viktiga steget in i processutveckling, den sista utvecklingsfasen innan vi kan genomföra toxikologi/biodistributionsstudier för att därefter påbörja de första kliniska studierna. Vi har under den senaste tiden haft flera intressanta möten med representanter för såväl akademi som industri med den dubbla ambitionen att bredda vår verksamhet med ytterligare ett genterapiprojekt och på sikt hitta lämpliga samarbetspartner för att ta vårt epilepsiprojekt CG01 hela vägen till marknad.

Jan Nilsson, VD,  
CombiGene

### GENVÄGEN REDAKTION

#### Kontakt:

redaktionen@combigene.com

**Ansvarig utgivare:** Jan Nilsson

#### Produktion:

Wiberg & Co Reklambyrå AB

**Texter:** Michael Vallinder

#### CombiGene AB (publ)

Medicon Village, SE-223 81 Lund

info@combigene.com

Bolaget är publikt och är noterat på Spotlight Stock Market (tidigare AktieTorget).

Läs även våra pressmeddelanden och nyhetsbrev på vår hemsida.

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



# CombiGenes vetenskapliga råd diskuterar utformning av den första kliniska studien

Den 9 november möttes CombiGenes vetenskapliga råd för ett viktigt möte. Med på mötet var rådets tre permanenta medlemmar (se nedan), CombiGenes vetenskapliga grundare professor Merab Kokaia och docent David Woldbye, CombiGenes forskning och utvecklingschef Karin Agerman och VD Jan Nilsson samt Robert Doblhofer från Granzer, CombiGenes regulatoriska konsult sedan flera år.

Syftet med möte var att gå igenom CombiGenes plan för utformning av den första kliniska studien för epilepsiprojektet CG01. En synopsis av studien har presenterats för Läke-medelsverket och för FDA i de möten som hållits med dem. Studien, som är tänkt att genomföras på epilepsipatienter, är primärt en säkerhetsstudie, men det vetenskapliga rådet diskuterade även vilka effektdata som potentiellt skulle kunna utläsas från studieresultaten.

Detta var första tillfället för det vetenskapliga rådet att gå igenom den tänkta utformningen av fas I-studien för CG01. Alla kliniska studier kräver ett ytterst noggrant förberedelsearbete och mycket återstår innan CombiGene har en färdig och fullt ut definierad studiedesign, men mötet i Köpenhamn var ett viktigt och betydande steg närmare det slutgiltiga resultatet.



### CombiGenes vetenskapliga råd

#### Annamaria Vezzani

Chef för Laboratory of Experimental Neurology på Mario Negri Institute for Pharmacological Research i Milano



#### Deniz Kirik

Professor vid Lunds Universitet och ledare för Brain Repair and Imaging in Neural Systems unit (BRAIN)



#### Margitta Seeck

Professor i Neurologi på Geneves universitet

## Johan Hyllner coachar CombiGene



Horizon 2020:s stöd till CombiGene omfattar inte bara 3,36 miljoner euro i anslag för utvecklingen av epilepsiprojektet CG01, utan även en bolagscoach. I CombiGenes fall är det professor Johan Hyllner, tidigare verksam som forskningschef på CGT Catapult, som tagit denna roll.

”Det är en fantastisk förmån för CombiGene att ha Johan Hyllner som coach”, säger Jan Nilsson, VD på CombiGene.

”Efter att ha lämnat CGT Catapult är Johan nu tillbaka i Sverige och vi har redan haft mycket givande diskussioner i centrala frågor som affärsstrategi, processutveckling och tillverkning. Johans råd och synpunkter kommer att vara ovärderliga för CombiGenes fortsatta resa.”

## Alla nyheter på ett ställe

Vi vill gärna delge dig så mycket som möjligt om vad som händer i Bolaget. Därför lanserar vi nu CombiGenes digitala nyhetsbrev, och erbjuder dig möjligheten att ta del av alla våra nyheter – direkt från källan.

Anmälan för prenumeration sker på vår hemsida där du registrerar den E-postadress du önskar få nyheterna till. Använd länken ”Anmälan nyhetsbrev” uppe till höger på hemsidan. Det är helt kostnadsfritt, och du kan enkelt avsluta din prenumeration när du vill.

Läs även ”Mer från Bolaget” och våra Pressmeddelanden, som finns på: [combigene.com](http://combigene.com)



Anmäl dig här!  
<http://combigene.com/anmalan-nyhetsbrev/>

## Karin Agerman: ”CombiGene är ett litet bolag med många styrkor”



### Du började din anställning 5 mars. Har din första tid på CombiGene motsvarat de förväntningar du hade när du började på bolaget?

”Ja, det måste jag säga. Jag förväntade mig att det skulle bli intensivt och det har det verkligen blivit. Jag hade under flera år letat efter ett företag som CombiGene och när jag till sist hittade bolaget följde jag det väldigt noga innan jag kontaktade Jan Nilsson, CombiGenes VD, för att anmäla mitt intresse, så att säga. Jag var med andra ord väl inläst på CombiGene redan från dag ett.”

### Hur skulle du beskriva CombiGene?

”Det enklaste sättet att beskriva CombiGene är att säga att det är ett litet bolag med stora styrkor. En fälla som många

små biotech-företag hamnar i är att forskarna/akademikerna tror att de själva kan driva ett företag som vilar på deras forskning samtidigt som de fortsätter sin akademiska forskning till 100 procent. Detta blir sällan särskilt bra. Det finns stora, grundläggande skillnader mellan forskning och företagande. En annan fälla som små företag ofta hamnar i är att man försöker göra allt själv. CombiGene har undvikit båda dessa potentiella misstag.”

### Vad har CombiGene gjort för att undvika dessa misstag?

”För det första har bolaget sett till att rekrytera en otroligt erfaren och drivande VD. Bolaget har också en mycket kompetent styrelse som har en tydlig bild om vart bolaget är på väg. Bolaget

har också varit noga med att bygga upp ett nätverk av externa specialister. På så vis har CombiGene tillgång till spetskompetens inom centrala områden trots att den egna organisationen är väldigt liten. I dagsläget består ju CombiGene bara av Jan och mig själv med ytterligare en person på väg in.”

■ Det är en dyster måndagseftermiddag i november när Genevägen ringer upp Karin Agerman, CombiGenes forskning och utvecklingschef, för en intervju. Karin har ett fulltecknat schema, men just denna eftermiddag har hon lovat att hon har en lucka. Det visar sig snabbt att denna lucka egentligen är full av plikter. Under intervjun hinner Karin hämta upp barn vid skola, kolla att de är bältade, höra hur deras dag varit, kolla att all utrustning för kommande utomhusaktivitet är på plats och skicka något enstaka email. Trots detta flyter intervjun på utan nämnvärda avbrott.

har också varit noga med att bygga upp ett nätverk av externa specialister. På så vis har CombiGene tillgång till spetskompetens inom centrala områden trots att den egna organisationen är väldigt liten. I dagsläget består ju CombiGene bara av Jan och mig själv med ytterligare en person på väg in.”

### Ser du några andra stora fördelar med CombiGene?

”Ja, det finns en sak till som är väldigt viktig. CombiGenes vetenskapliga grundare, professor Merab Kokaia och docent David Woldbye, är fortfarande engagerade i bolaget. Vi har ett mycket gott samarbete med både Merab och David. Sättet som de föder in nya idéer i CombiGene är alldeles ovärderligt.”

### En av dina uppgifter i CombiGene är att arbeta med affärsutveckling. Kan du kommentera det?

”Absolut. En viktig ambition inom CombiGene är att på sikt bredda vår verksamhet med ytterligare genterapi-projekt. Detta arbete bedrivs på flera

olika sätt. Under hösten har vi haft en doktorand från KI som kartlagt alla pågående svenska forskningsprojekt inom genterapi för att få en god bild av det akademiska landskapet. För ett litet bolag som CombiGene innebär affärsutveckling också att vi deltar i en rad olika nationella och internationella sammanhang. Ett av flera exempel på detta är Swelife ATMP och CAMP, två projekt som finansieras av Vinnova och som syftar till att stärka Sveriges konkurrenskraft inom avancerade medicinska terapier. Inom dessa två projekt får vi bland annat möjlighet att knyta värdefulla kontakter med både forskare och andra företag. Så här långt har detta varit mycket värdefullt och inspirerande.”

### Det låter som att du är mycket nöjd med din första tid på CombiGene.

”Det stämmer verkligen. Dagarna är mycket intensiva och (nästan) alltid roliga. Jag har lärt känna en rad fantastiska människor som drivs av djup passion och en kompromisslös ambition att faktiskt göra världen bättre. Det kunde inte vara mer stimulerande.”

## CG01 – uppdatering hösten 2018

■ Den 1 augusti var det officiella startdatumet för CombiGenes samarbete med Horizon 2020, EU:s ramprogram för forskning och utveckling.

Alla specifikationer från GeneDetect, som tillverkat CG01 för prekliniska studier, har överförts till CGT Catapult.

CGT Catapult har nu implementerat samma analysmetoder som GeneDetect använde sig av och nästa steg är att vidareutveckla analysmetoderna så att de är anpassade för kommande GMP-tillverkning.

På EMA-mötet (European Medicines Agency) i juni där CombiGene deltog tillsammans med Panion rekommenderades CombiGene att göra några smärre förändringar av Bolagets plasmider (ringformade DNA-molekyler).

Detta är nu genomfört och CombiGene har fått bekräftat att förändringen inte påverkar produktionen av CG01.

CombiGene har under hösten 2018 presenterat CG01-projektet för ett antal intressanta potentiella samarbetspartners, bland annat på Nordic Life Science Days i Stockholm och på Bio-Europe i Köpenhamn.

I november hölls ett möte med CombiGenes vetenskapliga råd för en första diskussion om utformningen av fas I-studien för CG 01 (se separat artikel).



# För många drabbade finns ingen hjälp. Ännu.

Detta vill vi ändra på. Vi är i utvecklingsfasen av en världsledande behandlingsmetod mot epilepsi. Potentialen är enorm, utsikterna är goda.

För väldigt många människor.

## Kalendarium

29 Januari 2019  
Aktiedagen, Lund

4 April 2019  
National ATMP Conference 2019, Göteborg  
<https://bit.ly/2QTRUeP>

3-6 Juni 2019  
BIO International Convention, Philadelphia USA  
<https://convention.bio.org/2019/>

10-12 September 2019  
NLSDays, Malmö  
<https://www.nlsdays.com/>

10 September 2019  
Aktiedagen, Stockholm

22-25 Oktober 2019  
European Society of Gene and Cell Therapy 27th annual congress, Barcelona  
<https://www.esgct.eu/congress/barcelona-2019.aspx>

4 November 2019  
Stora Aktiedagen, Göteborg

 **CombiGene**

*The gene therapy explorer*

CombiGene har som målsättning att utveckla behandlingsmetoder som kan förbättra livet för miljontals människor världen över.

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