

## Tjänstebeskrivning



### Senior Project Manager pre-clinical

**28 Juni 2018**

## Innehållsförteckning

Innehållsförteckning.....	2
Företagsbeskrivning .....	3
Företaget .....	3
Epilepsi .....	3
Andra projekt inom CombiGenes forskningsplattform .....	3
Tjänsten som Senior Project Manager pre-clinical.....	5
Huvudsakliga arbetsuppgifter och ansvarsområden .....	5
Utbildning, kvalifikationer och erfarenhet .....	6
Färdigheter och kompetenser .....	6
Övrigt .....	6
Möjligheter .....	6
Kontaktinformation.....	7
Ansökan .....	7
<i>Appendix 1 – Epilepsi</i> .....	8
Epilepsi .....	8
<i>Appendix 2 – CombiGenes forskningsplattform</i> .....	9
CombiGenes forskningsplattform .....	9
Neuropeptid Y .....	10
Genterapi .....	10
AAV-vektorer .....	10

## Företagsbeskrivning

<b>Företag:</b>	CombiGene AB
<b>Roll:</b>	Senior Project Manager, pre-clinical
<b>Rapporterar till:</b>	VD
<b>Placering:</b>	CombiGenes Huvudkontor, Lund
<b>Lämplig bostadsort:</b>	Flexibelt (gärna Lund- eller Stockholmsregionen)

### Företaget

**Affärsidé:** CombiGenes affärsidé består i att utveckla nya metoder för behandling av sjukdomar med större träffsäkerhet, ökad effekt och mindre biverkningar.

CombiGene har verksamhet som bygger på forskningresultat från Prof. Merab Kokaias grupp vid Lunds Universitet och Doc. David Woldbyes grupp vid Köpenhamns universitet. Genom att kombinera framsteg inom neurovetenskap och modern genteknik har de båda forskningsgrupperna 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 sjukdomar.

Våren 2018 tilldelades CombiGene ett anslag av Horizon 2020, SME instruments II, EUs ramprogram för forskning och innovation. CombiGene har kontor på Medicon Village i Lund, har idag 3 anställda och samarbetar med forskargrupper och konsulter runtom i världen. Bolaget är publikt och är noterat på Spotlight (tidigare AktieTorget) sedan 2015.

### Epilepsi

Med Woldbyes och Kokaias vetenskapliga studier som en solid grund vidareutvecklar nu CombiGene sin forskningsplattform mot att bli en säker och effektiv terapeutisk metod för behandling av epilepsi. Målgrupp för denna metod är i första hand patienter med partiell epilepsi och där den drabbade delen av hjärnan klart kan identifieras, samt där patienterna är resistent mot läkemedel och inte kan hjälpas av andra behandlingsalternativ. Storleken på denna grupp kan vara upp till 0.3 % av befolkningen, vilket motsvarar cirka 2.5 miljoner människor enbart i USA och Europa.

### Andra projekt inom CombiGenes forskningsplattform

CombiGenes patentansökningar omfattar även andra neurologiska sjukdomar samt psykiatriska sjukdomar. För att kunna exploatera detta ytterligare gör CombiGene f n en bedömning av de senaste vetenskapliga framstegen och de medicinska behoven inom dessa områden, i syfte att välja en lämplig inriktning för ytterligare förstudier på andra diagnoser. Utöver den neurologiska inriktningen arbetar

*CombiGene också med ett bredare utvecklingsprogram baserat på den kunskap och det nätverk av företag som CombiGene genom åren skaffat sig inom genterapi.*

*För ytterligare information om epilepsi samt detaljer om CombiGenes forskningsplattform, se Appendix 1 respektive Appendix 2. För mer information om CombiGene, se företagets hemsida, [www.combigene.com](http://www.combigene.com).*

## Tjänsten som Senior Project Manager pre-clinical

Vi söker en Senior Projektledare som har gedigen erfarenhet inom genterapi. Vi ser gärna att du också har kunskap inom läkemedelsutveckling och process utveckling av produktionsprocesser.

Du skall implementera, driva och vidareutveckla nya och befintliga projekt på ett sätt som överensstämmer med strategin inom CombiGene. Du skall ansvara för och projektleda genomförandet av del-projekt och vetenskapliga aktiviteter inom varje enskilt projekt. Du kommer att samarbeta nära med övriga anställda på CombiGene och bolagets VD, som du även kommer att rapportera till, samt externa forskare och CROn.

Du ska skriva/koordinera studiedokumentation (inkl. protokoll och rapport), upphandla tjänster från CRO samt koordinera arbetet mot CRO och övriga involverade. Arbetet innebär många kontakter både internt och externt med internationella CRO/samarbetspartners/forskargrupper samt myndigheter, vilket ställer höga krav på förståelse för olika kulturer samt en stor diplomatisk förmåga.

Du har en stark drivkraft med förmåga att ta egna initiativ och är duktig på att kommunicera. Då företaget är litet måste du ha en "can do" attityd och inte vara rädd för att kavla upp ärmarna. Samtidigt som du är självständig, trivs du också med att ha en samordnande och projektledande roll i ett team med externa partners.

### Huvudsakliga arbetsuppgifter och ansvarsområden

- Ansvara för uppdatering och uppföljning av projektplaner (projekt mål, tidslinjer, budget, resurser etc.), TPP (Target Product Profile) samt delegering av ansvar för att utföra olika aktiviteter
- Presentera projektstatus inkl. riskhantering, budget, resurser etc. för projektteam, ledande befattningshavare och styrelse
- Koordinera planering och genomförande av produktionsprocessutveckling, prekliniska farmakologiska och toxikologiska / biodistributionsstudier i enlighet med gällande regelverk
- Skriva/koordinera protokoll, rapporter och annan nödvändig studiedokumentation
- Ansvara för upphandling och kontakter med CROs/konsulter samt vara kontaktperson gentemot företag som bedriver verksamhet för CombiGene
- Upprätthålla kunskap om regelverk och standards samt ansvara för att dessa efterlevs
- Vara företagets representant i regulatoriska möten med myndigheter (MPA, EMA, FDA)
- Samordna och genomföra tvärfunktionella möten med t.ex. akademi, KOL, Advisory committeeés, patientföreningar, konsultspecialister, investerare
- Hantera företagets publikationsplan
- Omvärldsbevakning - övergripande uppdatering kring relevanta genterapiaktiviteter globalt
- Delta i konferenser och presentera företaget i mindre och större sammanhang
- Ge strategisk input till FoUs pipeline

## Utbildning, kvalifikationer och erfarenhet

- PhD eller MSc (t.ex. civilingenjör), helst inom naturvetenskap eller civilingenjör
- Erfarenhet från genterapi
- Erfarenhet av produktionsprocessutveckling är en fördel, gärna för genterapier
- Erfarenhet från läkemedelsföretag, pre-klinisk forskning är en stor fördel
- Gedigen erfarenhet från projektledning är ett krav
- Urval och kontraktering av underleverantörer / CRO
- Erfarenhet av kontakter med KOLs
- Goda kunskaper i svenska och engelska, såväl i tal som skrift
- Erfarenhet av Microsoft Office, gärna Microsoft Project

## Färdigheter och kompetenser

- Stark förmåga att organisera, planera och genomföra aktiviteter enligt uppsatta mål samt "ha många bollar i luften"
- Skapa goda relationer och nätverk med intressenter på olika nivåer, visa intresse och förståelse för andra människor
- Ta egna initiativ, arbeta självständigt, fatta snabba och tydliga beslut
- Stor analytisk förmåga. Strukturera information samt skriva klart och tydligt
- Lära sig snabbt nya uppgifter, förvalta kunskap och samla information för att stödja beslutsfattande
- Arbeta produktivt i en pressad miljö och ha en positiv attityd till arbetet
- Flexibel, pragmatisk och kreativ problemlösare - entreprenör och villig att göra stor inverkan på företaget

## Övrigt

Tjänsten innebär visst resande till möten med forskare, KOL, CROn och kongresser, både inom och utom Sverige. CombiGene's huvudkontor finns på Medicon Village, Lund där merparten av de större mötena sker som tex styrelsemöten. Ytterligare ett litet kontor finns på Lidingö utanför Stockholm. Lämplig bostadsort är därför Lund eller Stockholm med omnejd men andra orter kan också vara ett alternativ.

## Möjligheter

CombiGene har som målsättning att utveckla behandlingsmetoder som kan förbättra livet för miljontals människor världen över. Du får möjlighet att arbeta i ett litet entreprenörsdrivet läkemedelsföretag, som ligger i forskningsfronten gällande terapeutisk inriktad genterapi, och vars

forskning kan komma att göra stor skillnad för patienter med bl.a. epilepsi. Du får vara en del av ett team som bryter ny mark med sin innovativa forskning. CombiGene har flera spännande projekt på gång och du kommer att ha ett stort internationellt nätverk.

## Kontaktinformation

*För ytterligare information om tjänsten, kontakta gärna Catharina Herbertsson eller Eva Runnerström, rekryteringskonsulter på PeakSearch.*

E: [catharina.herbertsson@peaksearch.se](mailto:catharina.herbertsson@peaksearch.se)

M: +46 706 152 772

E: [eva.runnerstrom@peaksearch.se](mailto:eva.runnerstrom@peaksearch.se)

M: +46 701 725 379

## Ansökan

Ansök gärna direkt på PeakSearch hemsida, [www.peaksearch.se](http://www.peaksearch.se)

*PeakSearch is a recruitment consultant company specialized in recruiting Executives, Managers and Specialists in the Nordics. We have developed a top-quality recruitment model to attract, select and deliver the optimal match to our candidates and clients. Our talent network is huge and all our consultants have a long experience from the industry. PeakSearch headquarters is situated in central Stockholm, with affiliates in Lund, Uppsala, and selected partners in the Nordic countries.*

## *Appendix 1 – Epilepsi*

### **Epilepsi**

Upp mot 1 % av alla människor lider av epilepsi, vilket gör den till en av de vanligaste neurologiska sjukdomarna i världen. Enbart i USA uppskattas samhällets kostnader för epilepsi överstiga 15 miljarder USD per år och omkring 22 000 till 42 000 dödsfall per år orsakas där av epileptiska anfall.

Epilepsi kan orsakas av exempelvis en hjärnskada eller kan ha genetiskt ursprung. I de flesta fall är dock orsaken inte känd och spelar vanligtvis heller ingen roll för valet av behandling.

Det finns en rad anti-epileptiska läkemedel tillgängliga, men ca 30 % av patienterna blir inte tillräckligt hjälpta av dessa läkemedel eller utvecklar allvarliga biverkningar. En del patienter kan bli hjälpta av resektiv epilepsikirurgi, ett ingrepp där den del av hjärnan som orsakar anfallen tas bort, men för majoriteten av läkemedelsresistenta patienter är en säker och effektiv behandling ännu inte tillgänglig. Det är till denna patientgrupp som CombiGenes metod främst riktar sig.

En epilepsi som inte kan kontrolleras innebär väsentliga inskränkningar för den som drabbats, både yrkesmässigt och socialt. Detta vill CombiGene ändra på. Genom deras världsledande genterapiforskning finns en potential för effektiv behandling för de som i dag står utan valmöjligheter. För miljontals människor globalt!



## Appendix 2 – CombiGenes forskningsplattform

### CombiGenes forskningsplattform

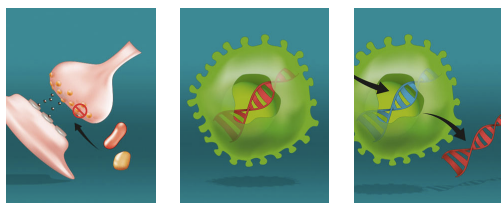
Framsteg inom genterapi-fältet har inneburit att sk AAV-vektorer (Adeno-associerat virus, AAV) etablerat sig som en lämplig metod för att föra in terapeutiska gener i mänskliga celler. Nuvarande fokus för CombiGene är utvecklingen av en epilepsibehandling med hjälp av denna metod. CombiGenes patenterade plattform bygger på användningen av genterapivektorer som levererar en kombination av transgener som kodar för två eller flera av Neuropeptid Y (NPY), NPY-receptorer, galanin, galaninreceptorer, somatostatin och/eller somatostatinreceptorer för behandling av neurologiska eller psykiatriska sjukdomar hos människor och djur. Patentansökningar har blivit godkända i USA och av European Patent Office, EPO.

CombiGenes vetenskapliga grundare, David Woldbye och Merab Kokaia, har visat i en serie av in vitro och in vivo-studier att en AAV-vektormedierad uppreglering av dessa proteiner i hjärnan kan hämma epileptiska anfall.

Ett antal prekliniska studier för dokumentation av transgenuttryck och distribution, val av kandidatvektor samt "dose finding" har genomförts. Nyligen rapporterades en långtidsstudie som genomförts för att testa CG01 i en translationell modell för temporallobsepilepsi. CombiGenes läkemedelskandidat CG01 visade sig ha tydliga antiepileptiska effekter. I denna prekliniska "Proof of Concept"-studie såg man färre och kortare anfall hos den behandlade gruppen.

Nästa steg för CG01 är att utveckla en komplett och slutgiltig tillverkningsmetod som kommer göra det möjligt för CombiGene att gå vidare till kommersiell GMP-tillverkning och därefter kliniska försök. För detta arbetet har ett samarbete med den välrenommerade brittiska organisationen CGT Catapult startats. CGT Catapult har hög kompetens inom en rad avgörande områden som utveckling av tillverkningsprocesser för genterapier och regulatoriskt stöd. Förutom samarbetet med CGT Catapult har CombiGene också samarbeten med ett antal välrenommerade CRO företag, konsulter och kliniska rådgivare alla med erfarenhet inom genterapiområdet.

Planerna framåt är att utföra ett antal GLP-studier för att belysa biodistribution och säkerhet med kandidatvektorn CG01, producerad enligt samma kvalitetskrav som GMP-producerat material.



## Neuropeptid Y

Neuropeptid Y (NPY) är en peptid med 36 aminosyror och är en av många neurotransmittorer i hjärnan och i det autonoma nervsystemet. NPY produceras i olika delar av hjärnan och antas påverka flera viktiga funktioner, t.ex. att öka aptiten, minska ångest och stress, minska smärtupplevelse och kontrollera epileptiska anfall. Mekanismen för dess effekt på epileptiska anfall är att NPY hämmar den transsynaptiska frisättningen av glutamat, som är en excitorisk neurotransmittor.

CombiGenes vetenskapliga grundare var bland de första i världen att visa att NPY hämmar epileptiska anfall hos djur och att denna effekt förstärks ytterligare om även NPY-receptorn Y2 tillförs.

## Genterapi

Genterapi kan användas för att föra in gener i patientens celler i syfte att ersätta defekta eller saknade gener eller, som i CombiGenes behandlingsmetod, för att komplettera fungerande gener och därigenom öka uttrycket av endogena proteiner eller peptider som har terapeutiska effekter.

Genterapi kan göra det möjligt att bota eller lindra en kronisk sjukdom genom en engångsbehandling, i motsats till många läkemedel som behöver ges vid upprepade tillfällen.

De senaste 5-10 åren har det skett betydande framsteg inom genterapin, både inom akademisk forskning och bland läkemedels- och bioteknikföretagen. Ett stort antal kliniska studier inom CNS-området har inletts liksom inom andra terapeutiska områden.

## AAV-vektorer

Adeno-associerat virus (AAV) är ett naturligt förekommande icke-patogent virus. När det används inom genterapi har det mesta av dess eget DNA avlägsnats och ersatts med en specifik transgen, plus promotorer och andra funktionella DNA-sekvenser. Resultatet blir en så kallad AAV-vektor som till skillnad från det naturliga viruset inte kan föröka sig. AAV-vektorn används sedan för att leverera den önskade terapeutiska genen in i cellerna hos patienten.