

GENEVÄGEN

NYHETER FRÅN COMBIGENE AB

NUMMER 1 • 2017

CombiGene – Världsledande svensk genforskning mot epilepsi

I FÖRSTA NUMRET:

<i>Genevägen</i>	sid 2
<i>Från forskning till utveckling</i>	sid 2
<i>Mannen som tog sitt privatjet</i>	sid 2
<i>Tack till alla aktieägare</i>	sid 3
<i>Analysguiden</i>	sid 3
<i>Vad är genterapi?</i>	sid 3

 **CombiGene**

Ledare – Genevägen på väg

■ CombiGene verkar inom ett mycket innovativt medicinskt forsknings- och utvecklingsområde, som kan komma att revolutionera behandlingsmetoder och ge miljontals människor bättre livskvalitet.

Genom att kombinera framsteg inom neurovetenskap och modern genteknik har CombiGene 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.

Vår tanke med "Genevägen" är att hålla dig uppdaterad om bolagets resa och utveckling och låta dig ta del av våra forskningsrön och framgångar på vägen.

GENVÄGEN REDAKTION

Kontakt:

redaktionen@combigene.com

Ansvarig utgivare: Jan Nilsson

Produktion: Wiberg & Co

Reklambyrå. **Texter:** Michael Vallinder, Lina Weibull

CombiGene AB (publ)

Medicon Village, SE-223 81 Lund
info@combigene.com

Bolaget är publikt och är noterat på AktieTorget.

Läs även våra pressmeddelanden och nyhetsbrev, tillgängliga på vår hemsida.

www.combigene.com



Genterapi erbjuder unika möjligheter att behandla sjukdomar som idag saknar adekvata terapier. Världen över bedrivs för närvarande ett intensivt forsknings- och utvecklingsarbete för att realisera denna fantastiska potential. Det gör mig mycket stolt och entusiastisk att som vd för CombiGene, som ligger i forskningens absoluta framkant, vara en del av denna utveckling.

CombiGenes mål är att utveckla en behandlingsmetod som kan förbättra livet för miljontals människor

■ Målgrupp för CombiGenes behandlingsmetod är patienter med lokalisierbar partiell epilepsi som är resistent mot dagens läkemedel och som inte kan hjälpas av andra behandlingsalternativ. Storleken på denna grupp beräknas uppgå till 0,3 procent av befolkningen, vilket motsvarar cirka 2,5 miljoner människor enbart i USA och Europa.

2016 var året då vi tog steget från forskning till utveckling

CombiGenes mål är att utveckla en verksam medicinsk behandling för denna grupp av epileptiker och under 2016 tog vi det avgörande steget från forskning till utveckling när vi i juni, helt enligt ursprunglig tidsplan, kunde välja slutgiltig läkemedelskandidat.

I oktober togs nästa viktiga steg i projektets utveckling genom det vetenskapliga rådgivningsmöte vi hade med svenska LäkeMedelsverket. Vid mötet presenterade vi CombiGenes behandlingskoncept och diskuterade den preliminära utformningen av det prekliniska utvecklingsprogram som måste genomföras innan vår läkemedelskandidat kan testas på människa i en Fas I/II-studie. Mötet var mycket givande och vårt behandlingskoncept togs väl emot av LäkeMedelsverket.

Dos-responsstudien bekräftade anti-epileptisk effekt

I mars 2017 erhöll vi data från den prekliniska dos-responsstudie som vi genomfört i samarbete med Pharmaseed Ltd. Studien bekräftade att vår läkemedelskandidat som förväntat har avsedd dosberoende anti-epileptisk effekt. Resultatet från dos-responsstudien kommer att ligga till grund för den långtidsstudie som kommer att genomföras 2017/2018.



Ett starkare CombiGene med tydlig inriktning för 2017

Valet av läkemedelskandidat och utfallet av dos-responsstudien har på ett betydande sätt stärkt CombiGenes ställning som läkemedelsutvecklingsbolag. Efter framstegen under 2016 är inriktningen för 2017 klar och tydlig. Nyemissionen som vi genomförde under inledningen av 2017 gav oss den finansiella uthållighet som krävs för att genomföra den prekliniska långtidsstudie, som är nästa viktiga milstolpe på vägen till färdigt läkemedel.

2017 kommer därmed att handla om två övergripande saker: genomförande av långtidsstudien, som planeras vara färdig under första halvåret 2018 och val av GMP-tillverkare för tillverkning av läkemedel för behandling av de första patienterna i en kommande fas I-studie.

Jan Nilsson
Vd CombiGene AB

Mannen som tog sitt privatjet – 20 år för tidigt

"CombiGenes verksamhet är kulmen av vad jag har arbetat med de senaste 20 åren. Ja, det har gått hela 20 år sedan jag gjorde en upptäckt där jag fann att en signalsubstans i hjärnan, NPY (Neuropeptid Y), stoppar epilepsi hos råttor. På den tiden var det inte möjligt att omvandla upptäckten till ett läkemedel men den uppmärksammades i många tidningar i Danmark och internationellt, bland annat i en tidning i Mellanöstern.

Spridningen av upptäckten hade en väldigt speciell effekt. Några mycket rika arabiska män kontaktade mig – och en av dem kom direkt till Köpenhamn i sitt privata flygplan. Han ringde mig från Kastrup och frågade om han kunde komma och få lite av den nya medicinen mot epilepsi. Jag sa: tyvärr, jag är verkligen ledsen att du tog ditt plan hit och jag hoppas att du får en trevlig kväll i Köpenhamn. Kom tillbaka om 20 år ...

Nu har det gått 20 år. Och jag är mycket nöjd för nu ger CombiGene oss möjligheten att på sikt hjälpa människor. Detta beror på att vi nu har ny teknik kallad genterapi."

David Woldbye
Docent och vetenskaplig grundare





Analysguiden

■ I december 2016 genomförde Analysguiden en analys av CombiGene. Nedan finns några utdrag.

Så här skriver Analysguiden:

“Genterapi på frammarsch

Med hjälp av genterapi ska CombiGene erbjuda mer effektiva behandlingar av svåra neurologiska sjukdomar. Bolagets forskning är spännande om än i tidig fas och kapitaltillskott behövs inom kort. CombiGene har under 2016 tagit ett viktigt steg i och med valet av kandidat för den vidare utvecklingen. Mindre prekliniska studier har gett stöd åt såväl verkningsmekanismen som att bolagets form av genterapi kan leverera önskade gener.

Det finns dock än så länge ganska begränsat med prekliniska data. CombiGene ska genomföra en längre studie i en mer avancerad kronisk epilepsimodell som kan ge ett prekliniskt “Proof of Concept” (indikation på effekt). Vi bedömer att den studien blir en viktig värdeomätare för bolaget under 2017. [...]

Vi bedömer att CombiGene är lågt värderat jämfört med andra listade bolag i motsvarande utvecklingsfas. För att motivera en mer positiv syn på aktien vill vi dock exempelvis se att finansiering och ytterligare studiedata för kandidaten CG01 kommer på plats.”

Hela analysen finns tillgänglig via länk på CombiGenes hemsida. Se Investor Relations/Nyheter, 20 december 2016.

FAKTA

Aktienamn: CombiGene
Kortnamn: COMBI
Antal aktier: 11 801 593
Kvotvärde: 0,1 SEK
Typ: Aktie
ISIN-kod: SE0006504593

Antalet aktier vid fjärde kvartalet 2016 uppgick till 11 801 593 stycken. Samtliga aktier är av samma slag och har samma rösträtt.

*Bolaget är publikt och är noterat på AktieTorget.
www.combigene.com*

CombiGene riktar ett stort tack till alla aktieägare!

■ CombiGene är ett ungt läkemedelsutvecklingsbolag med en position i forskningens framkant inom genterapi.

Bolagets vetenskapliga grund vilar på resultaten från forskning av David Woldbye, docent vid Köpenhamns universitet, och Merab Kokaia, professor i neurofysiologi och föreståndare för Epilepsicentrum vid Lunds Universitets medicinska fakultet. CombiGene är också det enda noterade genterapibolaget i Sverige.

Efter att under 2016 ha valt slutgiltig läkemedelskandidat och under inledningen av 2017 genomfört en lyckosam dos-responsstudie är CombiGene nu

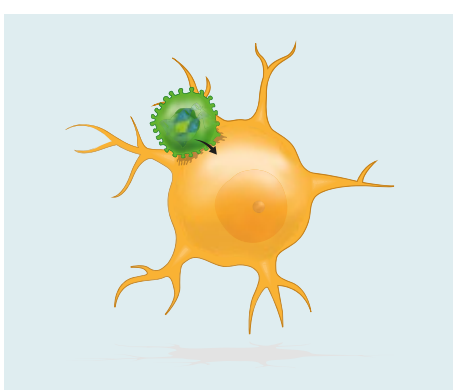
redo att påbörja en preklinisk långtidsstudie. Parallellt med genomförandet av långtidsstudien kommer Bolaget även att välja GMP-tillverkare (företag som kan tillverka läkemedelssubstans med den kvalitet som krävs för administration till människa) för tillverkning av läkemedel till de centrala säkerhetsstudier som myndigheterna kräver och till behandling av de första patienterna i en kommande fas I-studie.

Det är ni aktieägare som gör detta möjligt! CombiGenes styrelse och ledning vill därför ta detta tillfälle i akt och framföra ett stort och varmt tack

till alla aktieägare – gamla som nya – för det förtroende ni visat oss. Tillsammans skapar vi förutsättningar för att göra världen lite bättre.

För närvarande ligger CombiGenes fokus på att utveckla ett läkemedel mot epilepsi, men Bolagets teknologiplattform har möjligheter som är mångfald större. Det finns en rad andra neurologiska sjukdomar där Bolagets behandlingskoncept på sikt kan få en avgörande betydelse. CombiGenes resa precis börjat!

Vad är genterapi?



■ Det unika med genterapiteknologi är att man kan ersätta defekta eller saknade gener eller – som är fallet med CombiGenes metod – komplettera fungerande gener med nya funktioner.

Målet för genterapi är behandla sjukdomar som orsakas av enstaka defekta gener. Idag känner man till cirka 2 800 sådana sjukdomar och för flera av dem saknas det adekvata behandlingsmetoder. Genterapi är därmed ett av de

mest spännande utvecklingsområdena inom läkemedelsindustrin tack vare sina unika möjligheter till riktad terapi och potentialen att möta ett stort medicinskt behov.

Till skillnad från traditionell läkemedelsbehandling av kroniska sjukdomar, som kräver en kontinuerlig medicinering, har genterapi den stora fördelen att kunna uppnå en långvarig effekt genom en eller ett fåtal behandlingar. De senaste

5-10 åren har det skett stora framsteg inom genterapin och intresset från de stora läkemedelsbolagen är betydande. I Sverige finns det för närvarande fyra genterapiprodukter som är godkända för användning. Med tanke på de stora fördelar som genterapin erbjuder och de många forsknings- och utvecklingsprojekt som pågår världen över är det rimligt att anta att antalet godkända genterapiprodukter kommer att växa kraftigt under kommande år.

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 miljontals människor globalt.



 **combiGene**

www.combigene.com

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



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