

A person wearing a red shirt and a backpack is standing on the peak of a jagged, rocky mountain. The person is looking out over a vast landscape of rolling green hills and distant mountain ranges under a clear blue sky. A body of water is visible in the distance, nestled between the hills.

Spotlight (ticker: COMBI)



*CombiGene utvecklar med hjälp
av genterapi ny behandling av sjukdomar
med större träffsäkerhet, ökad effekt och
mindre biverkningar*

Ledning

Jan Nilsson
CEO



Karin Agerman
Chief Research and
Development Officer



Genterapi idag

317 kliniska studier, 34 i fas III
Onkologi, hjärt-/kärl, nervsystem
Q1/Q2 2018, investeringar på 5,8 miljarder \$

Ref: The Alliance for Regenerative Medicine's Q2 2018 Data Report





30 augusti 2017

FDA godkänner det första genterapeutiska läkemedlet i USA



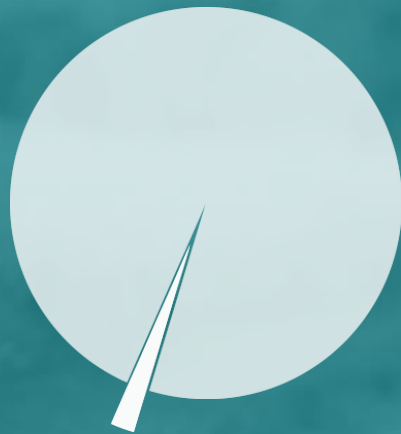


Genterapi jämfört med traditionella läkemedel

	Genterapi	Läkemedel
Exempel	AAV-NPY/Y2	Lamotrigin
Dosering	Ett tillfälle	Varje dag 1-2 ggr
Hur?	Injektion (hjärnan)	Tablett
Riktad	Ja	Nej
Effekt?	Många år	Timmar

Epilepsi

Ca 0,6 – 0,8 % av befolkningen
(Varav 1/3 är läkemedelsresistenta)

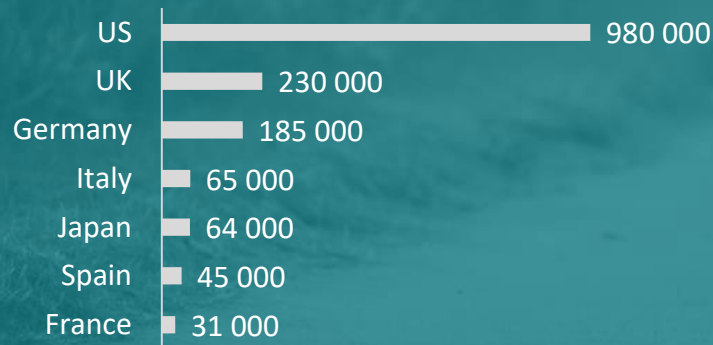


5.7 miljoner epilepsipatienter

Fanns diagnostiserade i USA, EU5 & Japan, år 2016

1 av 3 är läkemedelsresistent

Uppnår inte anfallsfrihet efter att ha behandlats med två olika AED läkemedel





CG01 har blockbuster potential
både i USA och Europa även vid
konservativa antaganden

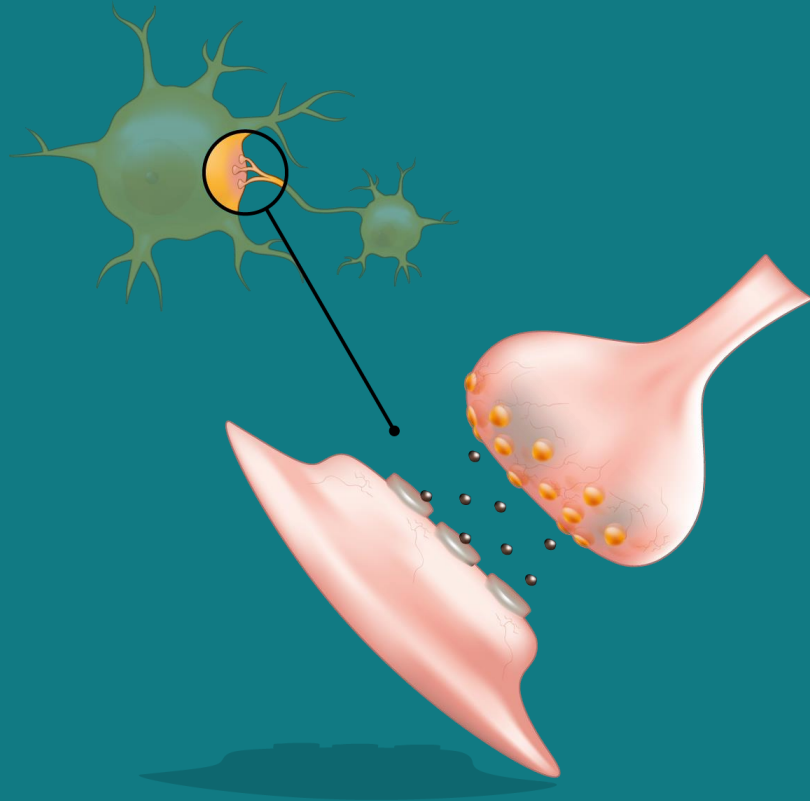
CG01 har blockbuster potential

	USA	EU5	Japan	Total
CG01 Målmarknad: Justerade nya fall av läkemedels-resistenta patienter med fokal epilepsi som bedöms lämpliga för operation	10 600 / varje år	12 200 / varje år	1 500 / varje år	24 300/ varje år
Bedömd marknadsandel Toppförsäljning	20%	20%	20%	4 860/ varje år
Bedömd terapikostnad Per patient	€800k	€400k	€400k	€575k
	€1.7 miljarder	€0.98 miljarder	€0.12 miljarder	€2.8 miljarder per år



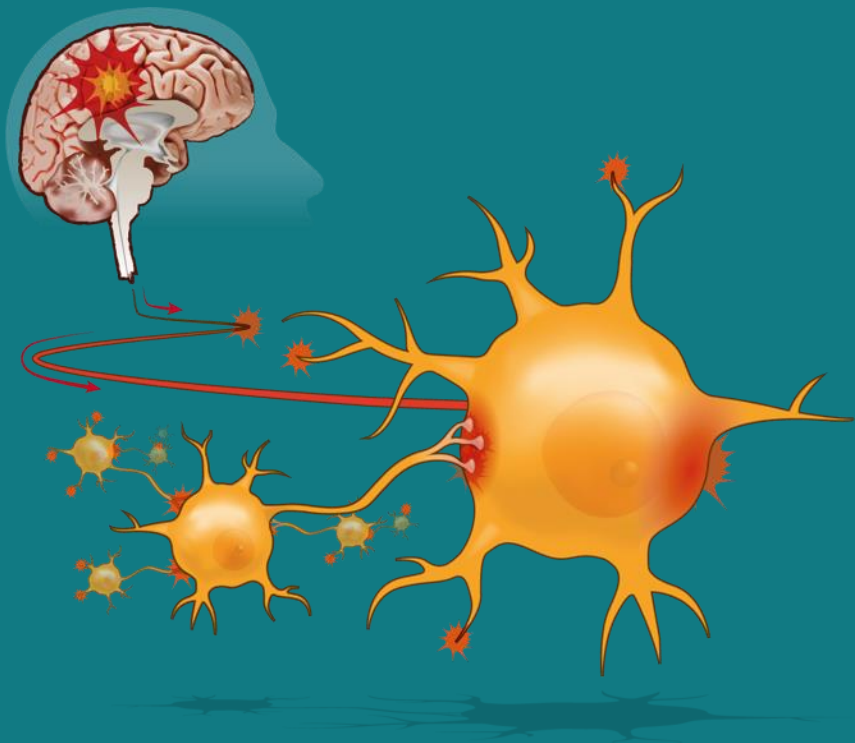
CG01

Vår läkemedelskandidat



I en normal hjärna:

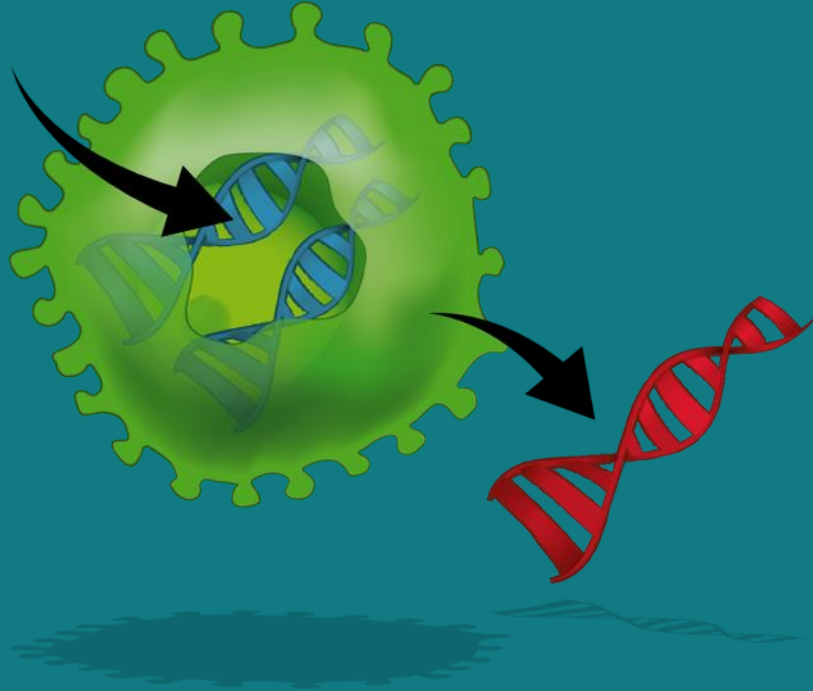
Normal glutamat produktion
(en signalsubstans)



Hos en epilepsipatient:

För mycket glutamat leder till en ökad kommunikation mellan hjärncellerna som i sin tur leder till sjukdom

Viruskapsel



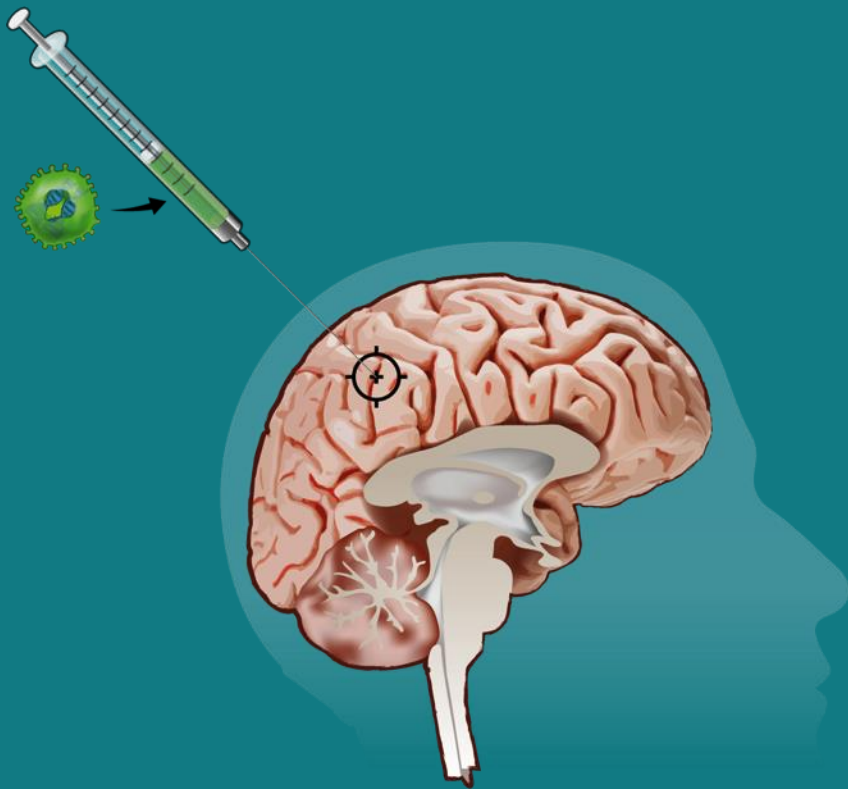
Vår läkemedelskandidat CG01

DNA utbyte

- Viralt DNA tas bort
- Nya gener (NPY och dess receptor) tillsätts

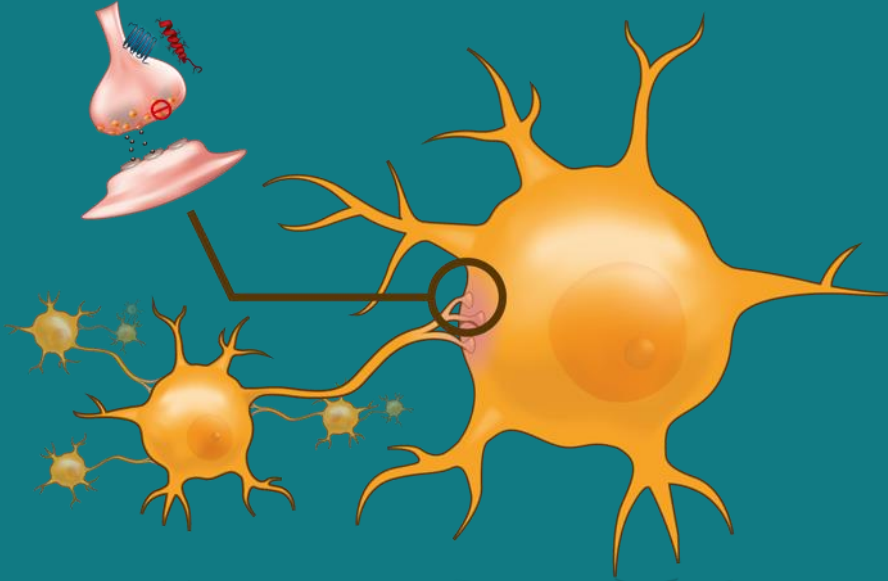


Identifisering av var epilepsin startar:
"epileptiskt fokus"



Precisionsinjektion

Efter identificering av epileptiskt fokus



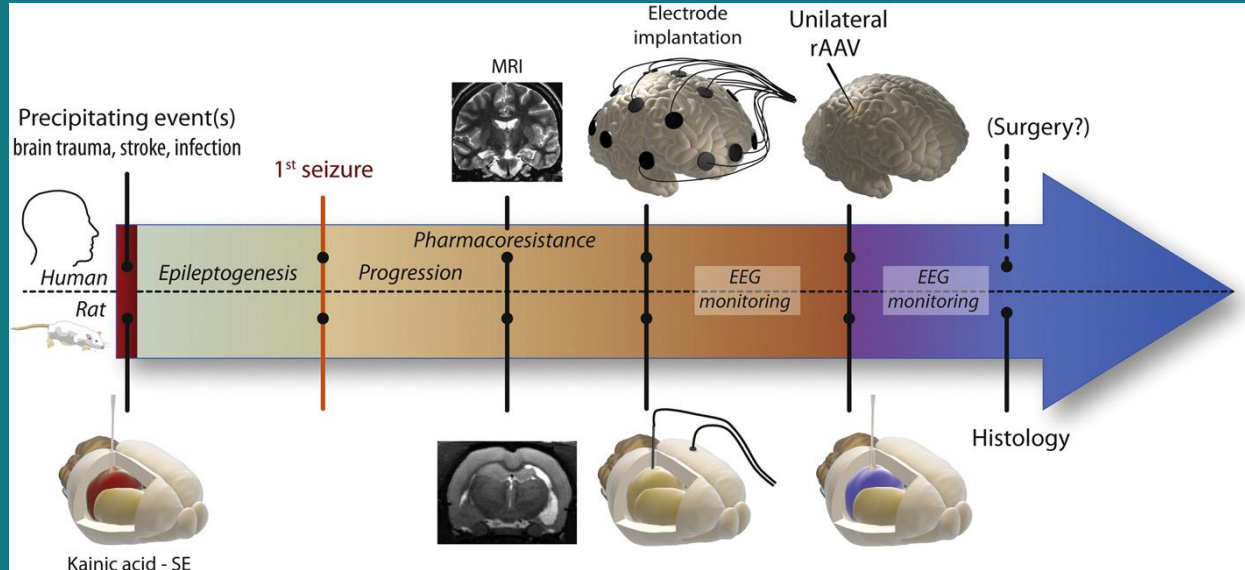
CG01 infekterar hjärncellerna i det epileptiska området och de börjar producera NPY och dess receptor Y2. Resultatet blir normalisering av kommunikationen mellan hjärncellerna

Proof-of-Principle

Proof of Principle visat i en kronisk djurmodell.

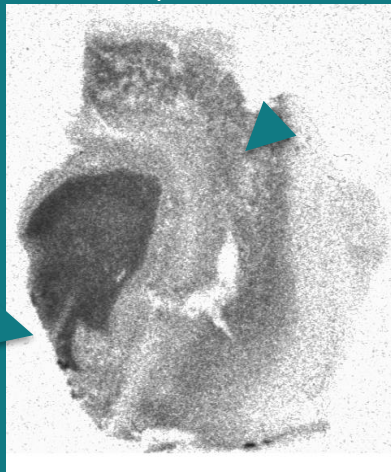
De djur som fick CG01 hade både signifikant färre och kortare anfall.

Ett par djur i behandlingsgruppen blev helt anfallsfria.



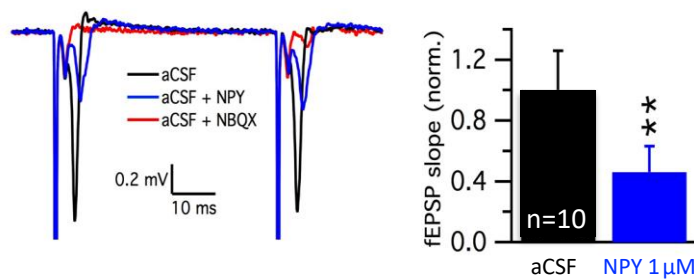
Proof-of-principle i mänsklig hjärnvävnad

Hippocampusvävnad från en
läkemedelsresistent TLE
patient



Fungerande receptorer
som binder NPY

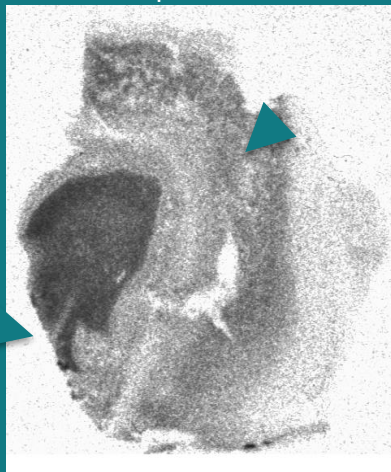
Human TLE, Schaffer collateral-CA1 synapses



NPY ger en antiepileptisk
effekt i mänsklig
hjärnvävnad

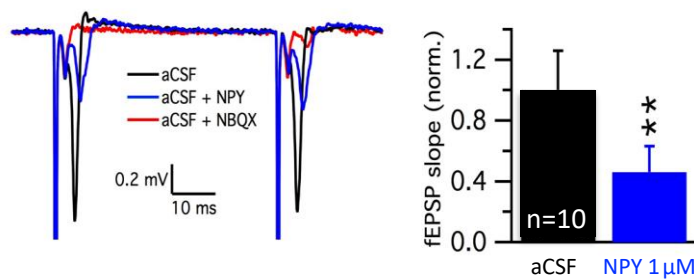
Proof-of-principle i mänsklig hjärnvävnad

Hippocampusvävnad från en
läkemedelsresistent TLE
patient

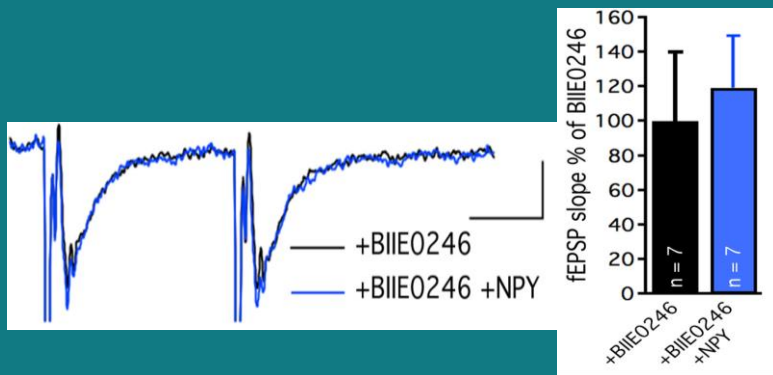


Fungerande receptorer
som binder NPY

Human TLE, Schaffer collateral-CA1 synapses



NPY ger en antiepileptisk
effekt i mänsklig
hjärnvävnad



Denna effekt får man
inte om NPY receptorn
är blockerad

Uppnådda milstolpar
Q4 17-Q2 18 →

Långtidsstudie avslutad
Studie i mänsklig hjärnvävnad
GMP process initierad

UNDER 2018

Fokus på processutveckling av CG01
Detaljerad utvecklingsplan
Affärsutveckling

MÅL 2019

Biodistributions- och toxikologi-studierna
Affärsutveckling –
ytterligare genterapiprojekt



Horizon 2020 – Kvalitetsstämpel från EU



3,36 miljoner euro och fokus
på svårbehandlad epilepsi

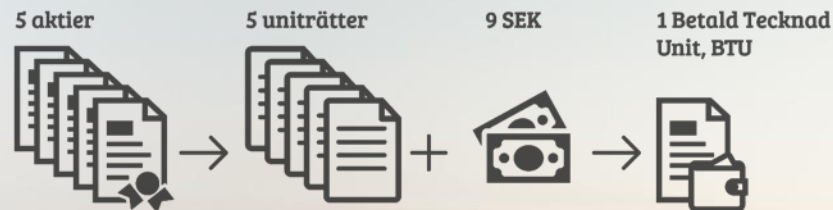
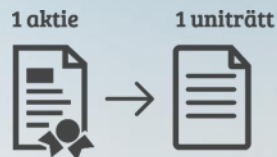
Erbjudandet I

Use of Proceeds: Att tillsammans med bidrag från EU finansiera fortsatt utveckling av pågående projekt
– att säkerställa finansiering av bolagets drift för de kommande 12 månaderna.

Transaktion	Garanterad (75 procent) företrädesemission om 31 MSEK av units bestående av nyemitterade aktier och teckningsoptioner
Villkor	2:1, d.v.s. innehav av en (1) befintlig aktie berättigar till teckning av två (2) nyemitterade aktier. Per fem (5) nyemitterade aktier erhålls vederlagsfritt en (1) nyemitterad teckningsoption av serie 2018/2019.
Unit	En (1) unit består av tio (10) nya aktier och två (2) vederlagsfria teckningsoptioner av serie 2018/2019.
Teckningskurs	9,00 SEK per unit, motsvarande 0,90 SEK per aktie.
Teckningsperiod	4 september – 18 september 2018
Ytterligare information	Fullständigt prospekt avseende företrädesemission publicerades den 24 augusti 2018 och finns tillgängligt på CombiGenes hemsida, www.combigene.com .

Erbjudandet II

- För varje, på avstämningsdagen den 30 augusti 2018, innehavd aktie erhålls en (1) uniträtt.
- Det krävs fem (5) uniträtter för teckning av en (1) Unit för 9 SEK per Unit, motsvarande en teckningskurs om 0,90 SEK per aktie.
- Varje Unit består av tio (10) aktier och två (2) teckningsoptioner av serie 2018/2019.
- Efter teckning och betalning erhålls Betalda Tecknade Units (BTU), där således exempelvis fem (5) befintliga aktier ger fem (5) uniträtter och därmed ger rätt att teckna tio (10) aktier och två (2) teckningsoptioner av serie 2018/2019.

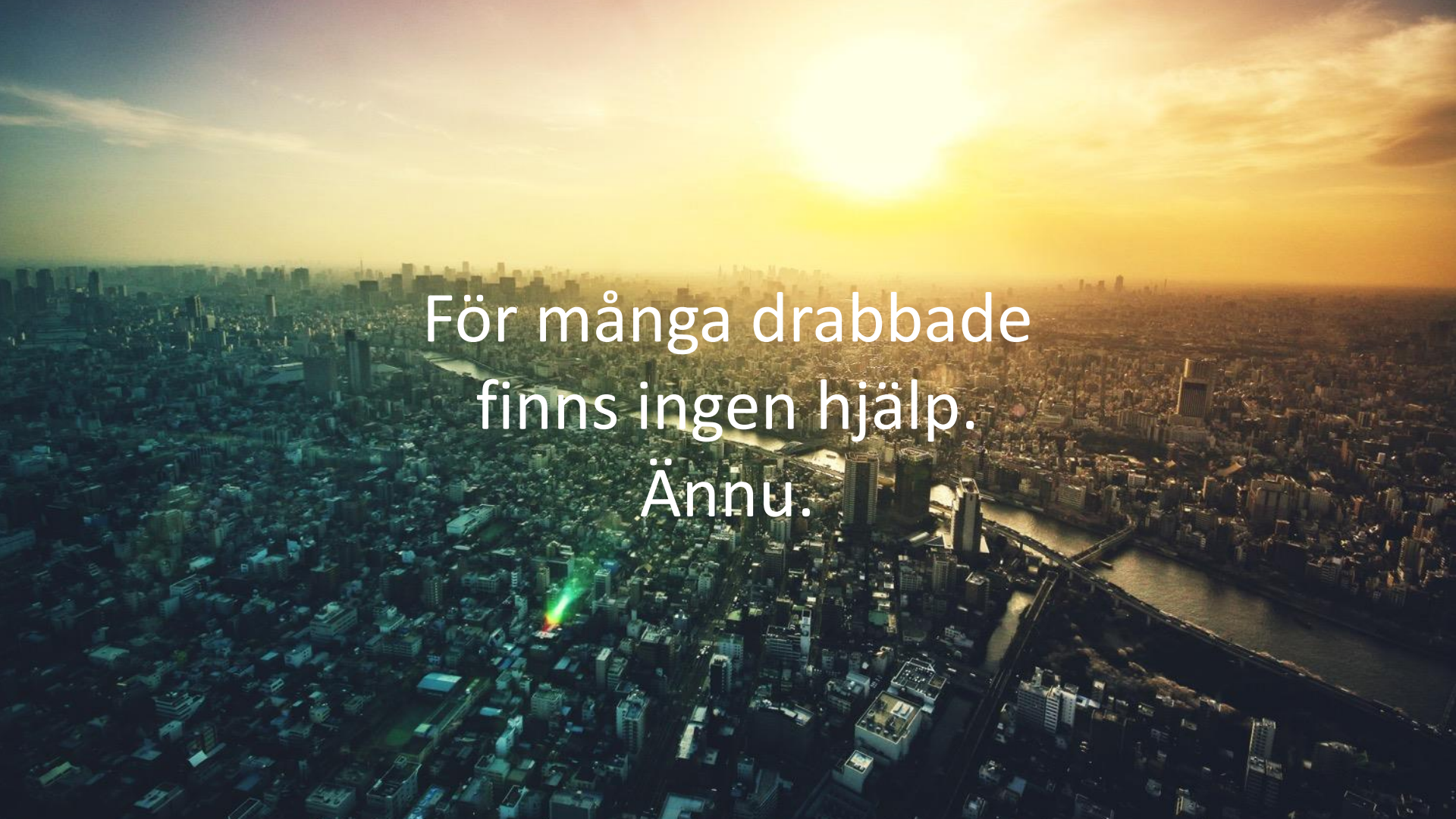


Exempel:

Om du har 5 000 aktier, ges rätt att teckna 1 000 Units (10 000 aktier och 2 000 teckningsoptioner), för en likvid om 9 000 kronor.

An aerial photograph of a dense city skyline at sunset. The sun is a large, bright yellow orb in the upper right, casting a warm, golden glow over the entire scene. The city below is a vast expanse of buildings, with a river or canal winding through the lower right portion. In the lower left, a small, bright green laser beam or light source is visible, pointing upwards. The text "För många drabbade finns ingen hjälp." is overlaid in white, sans-serif font in the center of the image.

För många drabbade
finns ingen hjälp.

An aerial photograph of a dense city skyline at sunset. The sun is a large, bright yellow orb in the upper right, casting a warm, golden glow over the entire scene. The city below is a vast expanse of buildings, with a river or canal winding through the lower right portion. In the lower left, a small, bright green laser beam or light source is visible, pointing upwards. The text is centered in the upper half of the image.

För många drabbade
finns ingen hjälp.
Ännu.



DISCLAIMER

Important information

This presentation (the “Presentation”) has been prepared by CombiGene AB (publ), 556595-6538 (“CombiGene” or the “Company”).

The Presentation is governed by Swedish law. The courts of Sweden have exclusive jurisdiction to settle any dispute arising out of or in connection with this Presentation. This Presentation does not constitute an offer of financial instruments to the public or an admission of such financial instruments to trading on a regulated market requiring an approved prospectus under the Swedish Financial Instruments Trading Act (1991:980) and, accordingly, this Presentation does not constitute a prospectus for these purposes and have not been, and will not be, approved or registered by the Swedish Financial Supervisory Authority (Sw: Finansinspektionen) under the Swedish Financial Instruments Trading Act. This Presentation has been drafted in English, if any discrepancies exist between this Presentation and the Prospectus to be published on or about August 24, 2018, the information in the Prospectus shall prevail.

Forward-looking statements

The Presentation contains certain forward-looking statements that reflect CombiGene’s current views or expectations with respect to future events and financial and operational development. The words “intend”, “estimate”, “expect”, “may”, “plan”, “anticipate” or similar expressions regarding indications or predictions of future developments or trends and which are not based on historical facts constitute forward-looking information. Although CombiGene believes that these statements are based on reasonable assumptions and expectations, CombiGene cannot give any assurances that such statements will materialize. Forward-looking statements are in its nature involved with both known and unknown risks and uncertainties, since they are depending on future events and circumstances. Forward-looking statements do not constitute any representations and warranties of future development and the outcome could differ materially from the information set out in the forward-looking statements.

The forward-looking statements included in this Presentation apply only to the date of this Presentation. CombiGene undertakes no obligation to publicly update or revise any forward-looking statements, whether as a result of new information, future events or similar circumstances other than as required by applicable law.