

## En hoppfull tid för Alzheimerpatienter

### HÄNDELSE UNDER DET FJÄRDE KVARTALET 2021

- Lecanemab beviljades Fast Track designation av amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA), vilket är ett FDA-program som avser stödja och påskynda utvecklingen av nya behandlingar för allvarliga sjukdomar med ett stort medicinskt behov såsom Alzheimers sjukdom.
- Den andra av tre delar i den stegvisa registreringsansökan för lecanemab enligt accelererat förfarande, med kliniska resultat samt föreslagen förskrivningsinformation, lämnades in till FDA.
- BioArctic kommunicerade att bolagets läkemedelsprojekt ND3014 syftar till att utveckla antikroppsläkemedel mot TDP-43, ett protein som anses spela en viktig roll i utvecklingen av den sällsynta neurodegenerativa sjukdomen ALS.
- BioArctic och bolagets samarbetspartner Eisai gav flera presentationer vid CTAD-kongressen som gav ytterligare stöd för lecanemab samt klargjorde likheter och viktiga skillnader i bindningsprofilen jämfört med andra anti-amyloid-antikroppar.

### FINANSIELL SAMMANFATTNING OKTOBER – DECEMBER 2021

- Nettoomsättningen för perioden uppgick till 4,7 MSEK (8,4)
- Rörelseresultatet uppgick till -39,4 MSEK (-30,2)
- Periodens resultat uppgick till -19,0 MSEK (-13,2) och resultatet per aktie före och efter utspädning uppgick till -0,22 SEK (-0,15)
- Kassaflödet från den löpande verksamheten uppgick till -39,3 MSEK (-26,8)
- Likvida medel vid periodens utgång uppgick till 848 MSEK (1 000)

### FINANSIELL SAMMANFATTNING JANUARI – DECEMBER 2021

- Nettoomsättningen för perioden uppgick till 23,1 MSEK (62,3)
- Rörelseresultatet uppgick till -139,7 MSEK (-85,0)
- Periodens resultat uppgick till -119,8 MSEK (-68,5) och resultatet per aktie före och efter utspädning uppgick till -1,36 SEK (-0,78)
- Kassaflödet från den löpande verksamheten uppgick till -140,5 MSEK (-92,3)
- Likvida medel vid periodens utgång uppgick till 848 MSEK (1 000)

### FINANSIELLA NYCKELTAL

MSEK	Q4		jan-dec	
	2021	2020	2021	2020
Nettoomsättning	4,7	8,4	23,1	62,3
Övriga intäkter	0,6	1,4	3,5	3,6
Rörelseresultat	-39,4	-30,2	-139,7	-85,0
Rörelsemarginal, %	neg	neg	neg	neg
Periodens resultat	-19,0	-13,2	-119,8	-68,5
Resultat per aktie före utspädning, SEK	-0,22	-0,15	-1,36	-0,78
Resultat per aktie efter utspädning, SEK	-0,22	-0,15	-1,36	-0,78
Eget kapital per aktie, SEK	8,96	10,30	8,96	10,30
Kassaflöde från den löpande verksamheten	-39,3	-26,8	-140,5	-92,3
Kassaflöde från den löpande verksamheten per aktie, SEK	-0,45	-0,30	-1,60	-1,05
Soliditet, %	87,9	86,4	87,9	86,4
Avkastning på eget kapital, %	-2,38	-1,44	-14,13	-7,28
Aktiekurs vid periodens slut, SEK	119,20	95,40	119,20	95,40

Om ej annat anges i denna delårsrapport så avses koncernen. Siffror inom parentes anger utfall för motsvarande period föregående år. Beloppen som anges är avrundade vilket ibland leder till att vissa summeringar inte är exakta.

## Vd har ordet



På julaftonen höjdes helgöstämningen lite extra för BioArctic när beskedet kom att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA beviljat Fast Track designation för lecanemab. Tidigare under året erhöll lecanemab Breakthrough Therapy designation och därmed omfattas läkemedelskandidaten nu av två FDA-program som syftar till att stödja och påskynda utvecklingen av nya behandlingar för allvarliga sjukdomar med ett stort medicinskt behov. Vår partner Eisai har redan lämnat in två av tre delansökningar som en del i det stegvisa inlämnandet under det accelererade förfarandet för myndighetens granskning inför ett eventuellt godkännande av lecanemab. BioArctic har bidragit till den första delansökan som omfattar all preklinisk dokumentation. Nu återstår endast inlämning av den del av dokumentationen som belyser produktionen av läkemedelskandidaten. Den regulatoriska processen för lecanemab tog således under 2021 stora steg framåt och vi kan konstatera att lecanemab nu har potential att bli det första sjukdomsmodifierande läkemedlet inom Alzheimers sjukdom som får ett fullt godkännande i USA, och det första som når marknaden i Europa.

Vid Alzheimerkonferensen CTAD i november presenterade Eisai och BioArctic nya data från den öppna förlängningsstudien med lecanemab som stärker och bekräftar de tidigare resultaten från fas 2b-studien som visade en kraftfull eliminering av amyloida plack i hjärnan, minskad kognitiv försämring hos personer med tidig Alzheimers sjukdom samt låg frekvens av biverkningen ARIA-E.

I en presentation som hölls av professor Lars Lannfelt, grundare av BioArctic, jämfördes bindningsprofilerna mot olika typer av amyloid-beta för antikropparna lecanemab, aducanumab och gantenerumab. Lecanemab utmärker sig genom sin starka bindning till protofibriller och oligomerer, de lösliga aggregerade formerna av amyloid-beta som forskning indikerar leder till Alzheimers sjukdom.

Vid konferensen presenterades dessutom data som visar på potentialen att använda biomarkörerna p-tau181 och A $\beta$ 42/40 i blod för att följa behandlingseffekten av lecanemab.

Ytterligare ett kvitto på lecanemabs unika egenskaper fick vi när DIAN-TU, ett USA-baserat nätverk för kliniska studier

av dominant ärftlig Alzheimers sjukdom, valde att inkludera lecanemab i konkurrens med andra anti-amyloid-antikroppar som basbehandling i en klinisk prövning i kombination med potentiella tau-läkemedel i patienter med dominant ärftlig Alzheimers sjukdom. Syftet med Tau NexGen-studien är att utvärdera om olika behandlingar eller kombinationer av dessa kan bromsa försämringen av kognitionen och förbättra sjukdomsrelaterade biomarkörer hos patienterna. Valet av lecanemab understryker värdet av resultaten från fas 2b-studien. Den första patienten i studien inkluderades under januari 2022.

BioArctic är starkt engagerat i utvecklingen av nya läkemedel mot neurodegenerativa sjukdomar, och under det gångna kvartalet presenterade vi vår satsning på att utveckla ett läkemedel mot ALS (amyotrofisk lateralskleros). Ett centralt protein i sjukdomsutvecklingen är proteinet TDP-43, som påträffas hos nästan alla patienter med ALS. När detta protein veckas fel bildas toxiska aggregat som orsakar en stegvis nedbrytning av motoriska nervceller i hjärnan, hjärnstammen och ryggmärgen. Inom ramarna för vårt läkemedelsprojekt ND3014 utvecklar vi selektiva antikroppar mot TDP-43 i syfte att förlänga och förbättra livet för personer som drabbats av ALS.

2022 blir det mest spännande året i bolagets historia. Det är året då vi förväntar oss resultaten från fas 3-studien av lecanemab i patienter med tidig Alzheimers sjukdom, fullföljandet av registreringsprocessen under det accelererade förfarandet i USA och att AbbVie inleder fas 2-programmet med läkemedelskandidaten ABBV-0805 mot Parkinsons sjukdom. Samtidigt ser vi fram emot att fortsätta utveckla den egna utökade projektportföljen. Blod-hjärnbarriärteknologin visar en kraftigt ökad och förbättrad exponeringen i hjärnan av antikroppar. Genom vår forskning i världsklass gör vi vårt yttersta för att tillsammans med våra samarbetspartner utveckla läkemedel som kan ge patienter med neurodegenerativa sjukdomar ett bättre liv.

Gunilla Osswald  
Verkställande direktör, BioArctic

# BioArctic i korthet

BioArctic AB (publ) är ett svenskt biofarmabolag som genom banbrytande forskning utvecklar nya läkemedel för patienter med sjukdomar i det centrala nervsystemet. Målsättningen är att på en global marknad skapa framtidens behandlingsmetoder som kan stoppa eller fördröja förloppet av Alzheimers sjukdom, Parkinsons sjukdom och andra neurologiska sjukdomar. Bolaget grundades 2003 baserat på innovativ forskning vid Uppsala universitet. BioArctics B-aktie är noterad på Nasdaq Stockholm Mid Cap (kortnamn BIOA B).

## Strategi för hållbar tillväxt

BioArctics vision är att skapa världsledande läkemedel som förbättrar livet för patienter med sjukdomar i det centrala nervsystemet. Vårt arbete bygger på banbrytande vetenskapliga upptäckter och bolagets forskare samarbetar med strategiska partner som forskargrupper på universitet och stora läkemedelsbolag.

Inom bolaget finns vetenskaplig spetskompetens och lång erfarenhet av att utveckla läkemedel från idé till marknad. BioArctics affärsmodell innebär att bolaget i tidig fas driver projektutvecklingen i egen regi för att vid lämplig tidpunkt utlicensiera kommersiella rättigheter och utveckling i sen fas till globala läkemedelsbolag. BioArctic har under de senaste åren varit framgångsrik i att utveckla högkvalitativa läkemedelsprojekt som resulterat i strategiska licens- och samarbetsavtal inom två stora sjukdomsområden där det föreligger betydande medicinska behov.

**Tre viktiga element i BioArctics strategi är att:**

- **FORTSÄTTA** stödja partnerskapsprojekten med stor marknadspotential
- **UTVECKLA** våra egna projekt vidare, fram till en väl avvägd tidpunkt för partnerskap eller avyttring
- **EXPANDERA** portföljen med nya projekt och indikationer med stort medicinskt behov

## Verksamhet

BioArctic bedriver sin forskning inom fem verksamhetsområden:

- **Alzheimers sjukdom**
- **Parkinsons sjukdom**
- **Andra CNS-sjukdomar**
- **Blod-hjärnbarriärteknologi**
- **Diagnostik**

Neurodegenerativa sjukdomar är ett tillstånd där nervceller i hjärnan degenererar och dör. Vanligtvis börjar de neurodegenerativa processerna långt innan några symtom uppträder. Neurodegenerativa sjukdomar påverkar miljontals människors liv och utgör ett växande globalt hälsoproblem.

En avgörande orsak till Alzheimers sjukdom och Parkinsons sjukdom anses vara onormal veckning och aggregering av proteiner. Spridningen av lösliga aggregat leder till neuronal dysfunktion, celldöd, hjärnskador och sjukdomssymtom. Varje neurodegenerativ sjukdom karaktäriseras av olika aggregerade proteiner. Utmärkande för Alzheimers sjukdom är proteinet amyloid-beta (A $\beta$ ) och för Parkinsons sjukdom proteinet alfa-synuklein ( $\alpha$ -synuklein). BioArctics målsättning med de antikroppar som nu är i klinisk fas, är att uppnå en sjukdomsmodifierande effekt genom antikropparnas selektiva bindning och eliminering av de skadliga lösliga aggregerade formerna av amyloid-betaproteinet (oligomerer/protofibriller) respektive alfa-synuklein i hjärnan.

# Projektportfölj

BioArctic har en balanserad och konkurrenskraftig portfölj bestående av unika produktkandidater, teknikplattformar och metoder för diagnostik. Samtliga projekt har ett fokus på sjukdomar i det centrala nervsystemet. Bolagets projekt är en kombination av fullt finansierade projekt som drivs i partnerskap med globala läkemedelsbolag samt egna innovativa projekt med stor marknads- och utlicensieringspotential. Projekten befinner sig i olika faser, från tidig forskningsfas till sen klinisk fas.

Projektportföljen bestod per den 31 december 2021 av:

	Projekt	Partner	Forskning	Preklinik	Fas 1	Fas 2	Fas 3
<b>ALZHEIMERS SJUKDOM</b>	Lecanemab (BAN2401) <i>Clarity AD</i>	Eisai <sup>1</sup>	Tidig Alzheimers sjukdom <sup>3</sup>				
	Lecanemab (BAN2401) <i>AHEAD 3-45</i>	Eisai <sup>1</sup>	Preklinisk (asymtomatisk) Alzheimers sjukdom <sup>4</sup>				
	BAN2401 back-up	Eisai					
	AD1801						
	AD1502						
	AD1503						
	AD-BT2802						
	AD-BT2803						
	AD2603						
<b>PARKINSONS SJUKDOM</b>	ABBV-0805 <sup>2</sup>	AbbVie					
	PD1601	AbbVie					
	PD1602	AbbVie					
<b>ANDRA CNS-SJUKDOMAR</b>	Lecanemab (BAN2401)		Downs syndrom <sup>5</sup> Traumatisk hjärnskada <sup>5</sup>				
	ND3014						
<b>BLOD-HJÄRNBARRIÄREN</b>	Brain Transporter (BT)- teknologin						
<b>DIAGNOSTIK</b>	Biomarkörer och diagnostik – Alzheimers sjukdom						
	Biomarkörer och diagnostik – Parkinsons sjukdom	AbbVie					

1) Partner med Eisai avseende lecanemab för behandling av Alzheimers sjukdom. Eisai i partnerskap med Biogen avseende BAN2401 (lecanemab) sedan 2014

2) AbbVie inlicensierade BAN0805 i slutet av 2018 och utvecklar antikroppen under beteckningen ABBV-0805

3) Mild kognitiv störning till följd av Alzheimers sjukdom och mild Alzheimers sjukdom

4) Normal kognitiv funktion men med måttligt till förhöjda nivåer av amyloid-beta i hjärnan

5) Demens och kognitiv störning vid Downs syndrom och vid traumatisk hjärnskada



## ALZHEIMERS SJUKDOM

*BioArctic har utvecklat flera unika och selektiva antikroppar med potential att bromsa sjukdomsförloppet vid Alzheimers sjukdom. Den längst framskridna läkemedelskandidaten lecanemab (BAN2401) utvärderas för närvarande i två fas 3-studier, Clarity AD för tidig Alzheimers sjukdom och AHEAD 3-45 för preklinisk (asymtomatisk) Alzheimers sjukdom. Lecanemab har tidigare visat övertygande resultat i en stor fas 2b-studie på patienter med tidig Alzheimers sjukdom. Utvecklingen av lecanemab mot Alzheimers sjukdom finansieras och drivs av BioArctics samarbetspartner Eisai som också samäger rättigheterna till lecanemab back-up. BioArctic har ytterligare sex antikropsprojekt mot Alzheimers sjukdom i sin projektportfölj.*

### Läkemedelskandidaten lecanemab (samarbete med Eisai)

Vid Alzheimers sjukdom klumpar proteinet amyloid-beta ihop sig till allt större aggregationsformer i hjärnan – från den ofarliga och naturliga formen (monomer) till större former som oligomerer, protofibriller, fibriller och slutligen amyloida plack som innehåller fibriller. Oligomerer och protofibriller anses vara de mest skadliga formerna av amyloid-beta och startar sjukdomsprocessen vid Alzheimers sjukdom.

Läkemedelskandidaten lecanemab är en antikropp som är designad för att binda starkast till oligomerer och protofibriller. Lecanemab hjälper till att rensa bort dessa från hjärnan och därmed potentiellt bromsa sjukdomsförloppet. BioArctics samarbetspartner Eisai ansvarar för den kliniska utvecklingen av lecanemab för Alzheimers sjukdom. Projektet bygger på forskning från Uppsala universitet.

Eisai driver två globala fas 3-studier med lecanemab, dels i tidiga Alzheimerpatienter (Clarity AD) dels i personer med förhöjda nivåer av amyloid i hjärnan som ännu inte utvecklat symptom för Alzheimers sjukdom (AHEAD 3-45).

Clarity AD är den registreringsgrundande och bekräftande fas 3-studien. Den bygger på fas 2b-studien med 856 patienter med tidig Alzheimers sjukdom som visade dosberoende, kliniskt betydelsefulla och statistiskt signifikanta effekter av lecanemab på flera kliniska effektparametrar och biomarkörer samt god tolerabilitet.

Clarity AD är en global, placebokontrollerad, dubbelblind, randomiserad, parallellgruppsstudie med 1 795 patienter med tidig Alzheimers sjukdom. Dessa patienter har mild kognitiv störning till följd av Alzheimers sjukdom eller mild Alzheimers sjukdom. Patienterna fördelas jämnt i två grupper som får intravenöst dropp två gånger i månaden, antingen med placebo eller med lecanemab 10 mg/kg. Primärt effektmått är förändringen jämfört med baslinjen i kognitions- och funktionsskalan Clinical Dementia Rating-Sum of Boxes (CDR-SB) efter 18 månaders behandling. Förändringar i de kliniska skalorna AD composite score (ADCOMS) och AD Assessment Scale-Cognitive Subscale (ADAS-Cog) är viktiga sekundära effektmått, tillsammans med amyloidnivåerna i hjärnan mätta med amyloid-PET. Enligt Eisai är målet att erhålla primära studiedata i slutet av september 2022 och därefter ansöka om fullständigt marknadsgodkännande. Deltagarna i Clarity AD studien kan efter 18 månaders behandling fortsätta i en pågående öppen förlängningsstudie,

utan placebokontroll, där deltagare som uppfyller kraven får behandling med lecanemab.

En öppen förlängningsstudie till fas 2b, utan placebokontroll, med fortsatt behandling med lecanemab med högsta dosen för samtliga deltagare i fas 2b-studien pågår. Under 2020 presenterade Eisai data från studien som visade att patienter som tidigare hade erhållit placebo i fas 2b-studien efter tre, sex och tolv månaders behandling med lecanemab erhöll en snabb och kontinuerlig minskning av amyloidnivåer i hjärnan. Vidare presenterades en fortsatt låg frekvens av biverkningen ARIA-E, hos under 10 procent av patienterna, vid behandling med lecanemab. Denna bild stärktes ytterligare i mars 2021 då Eisai presenterade resultat som visar en minskning av amyloidnivåer i hjärnan som i genomsnitt kvarstod i minst två år efter att behandlingen avslutades. Samtidigt konstaterades att när lecanemab gavs i en dos om 10 mg/kg varannan vecka så minskade amyloidnivåerna i hjärnan hos mer än 80 procent av patienterna till nivåer under det som definierar Alzheimers sjukdom. Dessa resultat erhöles både i huvudstudien och i den öppna förlängningsstudien. I juli 2021 presenterade Eisai för första gången kliniska data från en liten kohort av deltagare i den öppna fas 2b-förlängningsstudien. Resultaten visade behandlingssvar på kliniska skalor såsom ADCOMS, CDR-SB och ADAS-Cog hos nyligen lecanemab-behandlade och tidigare placebo-behandlade patienter med tidig Alzheimers sjukdom, vilket gav ytterligare stöd för effekresultaten som sågs i den stora placebokontrollerade fas 2b-studien.

BioArctic och Eisai gav i november flera presentationer vid CTAD-kongressen (Clinical Trials on Alzheimer's Disease conference). Nya data presenterades för lecanemab som stärker de positiva resultat vilka tidigare visats både i fas 2b-studien och i den öppna förlängningsstudien av lecanemab. Dessutom presenterades data som visar på potentialen att använda blodprover för p-tau181 och A $\beta$ 42/40 i syfte att identifiera rätt patienter samt att följa behandlingseffekten av lecanemab. De data som presenterades klagör också likheter och viktiga skillnader i lecanemabs bindningsprofil jämfört med andra anti-amyloid-antikroppar mot Alzheimers sjukdom i sen utvecklingsfas.

Lecanemab har en unik bindningsprofil som skiljer sig från andra antikroppar mot amyloid-beta. Den unika bindningsprofilen för lecanemab har bekräftats i laboratorieanalyser som pågår parallellt med det kliniska utvecklingsprogrammet. BioArctic har ett pågående forskningssamarbete med Eisai i syfte att ytterligare fördjupa kunskaperna kring lecanemabs unika bindningsprofil.

I september startade Eisai en Fas 1-studie med subkutan administration av lecanemab. Studien genomfördes under hösten och nu pågår en analys av resultaten för att bestämma rätt dos för de framtida behandlingar som kommer att ges subkutant.

Lecanemab har valts för utvärdering av Alzheimer's Clinical Trials Consortium (ACTC) och Eisai i ett andra fas 3-program som syftar till att utvärdera effekten av läkemedelskandidaten på preklinisk asymtomatisk Alzheimers sjukdom (AHEAD 3-45). Programmet, som startades 2020, inkluderar personer som befinner sig i ett mycket tidigt skede av sjukdomsförloppet och

har hög risk att insjukna. Programmet, består av två kliniska delstudier, A3 och A45. Efter en gemensam screeningprocess inkluderas deltagarna i en av de randomiserade, dubbelblindade och placebokontrollerade delstudierna baserat på nivån av amyloid-beta i hjärnan hos den enskilda individen. AHEAD 3-45 är ett globalt program som innefattar cirka 1 400 personer.

DIAN-TU (Dominantly Inherited Alzheimer Network Trials Unit) har valt att inkludera lecanemab som anti-amyloid-basbehandling i en klinisk prövning med potentiella tau-läkemedel i patienter med dominant ärftlig Alzheimers sjukdom. Syftet med studien är att bedöma vissa läkemedelskandidaters säkerhet och tolerabilitet, samt deras effekt på biomarkörer och kognition hos personer med ärftlig Alzheimers sjukdom.

I juni 2021 beviljades lecanemab Breakthrough Therapy designation, ett FDA-program som är avsett att underlätta och påskynda utveckling och granskning av läkemedel för allvarliga eller livshotande tillstånd. Denna status inkluderar möjligheten till mer frekvent vägledning från FDA för ett effektivt utvecklingsprogram, möjlighet till stegvis inskick och granskning av ansökan om marknadsgodkännande, samt potentiellt en prioriterad granskning av den finala ansökan. I september 2021 meddelade Eisai att bolaget har inlett en stegvis ansökan till FDA för godkännande av lecanemab vid tidig Alzheimers sjukdom under förfarandet för ett accelererat godkännande (accelerated approval).

I december 2021 beviljades lecanemab Fast Track designation av FDA, vilket innebär ett stöd för att påskynda utvecklingen av behandlingar för allvarliga sjukdomar med ett stort medicinskt behov. Samtidigt meddelades att två av de tre delarna i den stegvisa ansökan för lecanemab för ett accelererat godkännande har skickats in till FDA. Denna ansökan baseras främst på kliniska, biomarkör- och säkerhetsdata från fas 2b-studie av lecanemab med personer med tidig Alzheimers sjukdom och bekräftad A $\beta$ -patologi. Även data från den öppna fas 2b-förlängningsstudien samt säkerhetsdata från Clarity AD i blindad form ingår.

#### **Back-up-kandidat till lecanemab (samarbete med Eisai)**

Antikroppen är en vidareutvecklad version av lecanemab för Alzheimers sjukdom och har tagits fram i samarbete med Eisai, vilket resulterade i ett nytt licensavtal 2015. Projektet drivs och finansieras av Eisai och är i preklinisk fas.

#### **Läkemedelsprojekten AD1801, AD1502, AD1503 och AD2603 (ägs av BioArctic)**

BioArctic har ytterligare fyra antikroppsprojekt mot Alzheimers sjukdom i sin projektportfölj, samtliga i forskningsfas. Dessa antikroppar riktar in sig på olika verkningsmekanismer och har alla potential att bli sjukdomsmodifierande behandlingar av Alzheimers sjukdom. Samtliga utvecklas för att behandla tidig Alzheimers sjukdom. AD1801 är ett antikroppsprojekt vars verkningsmekanism är kopplad till ApoE, vilket är den vanligaste genetiska riskfaktorn för Alzheimers sjukdom. AD1503 är ett antikroppsprojekt mot kortare trunkerade former av amyloid-beta som har en stark förmåga att aggregera och bilda toxiska former som kan orsaka Alzheimers sjukdom.

#### **Läkemedelsprojekten AD-BT2802 och AD-BT2803 (blod-hjärnbarriärteknologin ägs av BioArctic)**

BioArctic har två antikroppsprojekt mot Alzheimers sjukdom som kombineras med bolagets blod-hjärnbarriärteknologi, kallad Brain Transporter (BT), för att underlätta upptaget av antikroppar i hjärnan.

#### **PARKINSONS SJUKDOM**

*Inom behandlingsområdet Parkinsons sjukdom samarbetar BioArctic sedan 2016 med AbbVie. Under 2018 förvärvade AbbVie en licens för att utveckla och kommersialisera BioArctics portfölj med antikroppar mot alfa-synuklein för Parkinsons sjukdom och andra potentiella indikationer.*

#### **Läkemedelskandidaten ABBV-0805 (samarbete med AbbVie)**

ABBV-0805 är en monoklonal antikropp som selektivt binder och eliminerar oligomerer och protofibriller av alfa-synuklein. Målet är att utveckla en sjukdomsmodifierande behandling som stoppar eller bromsar sjukdomsförloppet. Projektet bygger på forskning från Uppsala universitet.

I februari 2019 godkände FDA ansökan om att bedriva en klinisk studie med ABBV-0805 och fas 1-studien startade i mars 2019. Vid International Congress of Parkinsons disease and movement disorders® (MDS) i september 2021 presenterade BioArctic prekliniska resultat och AbbVie presenterade resultat från fas 1-studien som stödjer fortsatt utveckling av antikroppen i fas 2 med dosering en gång i månaden. I november 2021 publicerade Neurobiology of Disease en artikel från BioArctic som beskriver nya prekliniska data för anti-alfa-synuklein-antikroppen ABBV-0805. Artikeln innehåller data som visar på ABBV-0805:s förmåga att selektivt binda lösliga skadliga alfa-synuklein-aggregat.

AbbVie driver och finansierar den fortsatta kliniska utvecklingen av ABBV-0805. Användningsområdet för ABBV-0805 kan komma att vidgas till att inkludera t.ex. Lewy Kroppsdemens och multipel systematrofi.

#### **Läkemedelsprojekten PD1601 och PD1602 (samarbete med AbbVie)**

Antikroppsprojekten PD1601 och PD1602 är riktade mot alfa-synuklein för behandling av Parkinsons sjukdom. Målet är att utveckla en sjukdomsmodifierande behandling som stoppar eller bromsar sjukdomsförloppet. Projektet ingår i samarbetet med AbbVie.

#### **ANDRA CNS-SJUKDOMAR**

*BioArctics mål är att förbättra behandlingarna av ett antal sjukdomar i det centrala nervsystemet. Bolaget utvärderar möjligheten att utveckla sina befintliga samt nya antikroppar mot andra sjukdomar i centrala nervsystemet.*

#### **Läkemedelskandidaten lecanemab (indikationer utöver Alzheimers sjukdom ägs av BioArctic)**

Lecanemab kan potentiellt även användas för andra indikationer, vilka i så fall ägs av BioArctic. Antikroppen befinner sig i preklinisk fas som en potentiell behandling av kognitiva störningar vid Downs syndrom och av traumatisk hjärnskada. BioArctic presenterade vid AD/PD-konferensen 2021 resultat som visar att lecanemab även kan komma att

utvecklas till en sjukdomsmodifierande behandling för personer med Downs syndrom med demens.

#### **Läkemedelsprojektet ND3014 (ägs av BioArctic)**

I november 2021 kommunicerade BioArctic att läkemedelsprojektet ND3014 syftar till att utveckla antikropps-läkemedel mot TDP-43, ett protein som tros spela en viktig roll i utvecklingen av den sällsynta neurodegenerativa sjukdomen ALS. Projektet är i tidig forskningsfas.

#### **BLOD-HJÄRNBARRIÄRTEKNOLOGI (BRAIN TRANSPORTER) (ägs av BioArctic)**

Blod-hjärnbarriären kontrollerar passagen av ämnen mellan blodet och hjärnan. Barriären skyddar hjärnan från skadliga substanser, men kan samtidigt försvåra möjligheten att få läkemedel in i hjärnan. BioArctic och forskare vid Uppsala universitet samarbetar för att utveckla en teknik som underlättar antikroppars passage över blod-hjärnbarriären. Den andra generationen av denna teknologi, som redan visat sig kraftigt öka och förbättra exponeringen i hjärnan av antikroppen, är under utveckling. Under 2021 kombinerade BioArctic två tidiga projekt mot Alzheimers sjukdom, projekt AD-BT2802 och AD-

BT2803, med bolagets blod-hjärnbarriärteknologi. Teknologin har en betydande potential för många olika behandling av flera olika sjukdomar i hjärnan. BioArctic har, tillsammans med Uppsala universitet, fått ett forskningsanslag från Vinnova för fortsatt forskning inom projektet blod-hjärnbarriären.

#### **DIAGNOSTIK**

##### **Alzheimerdiagnostik (ägs av BioArctic) och Parkinsondiagnostik (i samarbete med AbbVie)**

BioArctic arbetar för att utveckla nya metoder som kan förbättra och förenkla diagnostiken och utvärderingen av behandling för bolagets projekt inom Alzheimers sjukdom och Parkinsons sjukdom. Bolaget bedriver ett antal projekt i samarbete med externa kommersiella och akademiska partner. Bolaget är dessutom verksamt i ett projekt för att förbättra bilddiagnostiken (PET) av hjärnan vid Alzheimers sjukdom. Målsättningen är att skapa metoder och verktyg som kan användas i de egna projekten för att bättre kunna diagnostisera sjukdomen, följa sjukdomsutvecklingen samt objektivt mäta effekten av läkemedelsbehandling.

# Finansiell utveckling

## INTÄKTER OCH RESULTAT

Intäkterna består av milstolpsersättningar, ersättningar från forskningsavtal och forskningsanslag. På grund av verksamhetens karaktär kan det uppstå stora fluktuationer mellan intäkterna för olika perioder då intäkter från milstolpsersättningar redovisas vid den tidpunkt då prestationsåtagandena är uppfyllda.

Nettoomsättningen under det fjärde kvartalet uppgick till 4,7 MSEK (8,4). Nettoomsättningen för perioden januari-december uppgick till 23,1 MSEK (62,3). Minskningen för helåret jämfört med föregående år beror på att en engångsintäkt om 22,8 MSEK hänförlig till en omvärdering av Parkinsonprogrammets totala kostnader bokfördes under första kvartalet föregående år samt på att omfattningen av innevarande forskningssamarbetsavtal med Eisai är mindre än det tidigare.

Övriga rörelseintäkter som avser forskningsanslag och operativa valutakursvinster uppgick under det fjärde kvartalet till 0,6 MSEK (1,4) och till 3,5 MSEK (3,6) för helårsperioden.

Rörelsens totala kostnader för fjärde kvartalet uppgick till -44,6 MSEK (-39,9) och till -166,4 MSEK (-151,0) för helårsperioden. Projektkostnaderna för de egenägda projekten ökade vilket var hänförligt till en högre aktivitet i projekten. Personalkostnaderna för helåret ökade något till följd av ett ökat antal anställda samt bonuskostnader. Övriga externa kostnader var på samma nivå för helåret. Övriga rörelsekostnader består huvudsakligen av realiserade operationella valutakursförluster.

Då BioArctics egna projekt är i tidig forskningsfas uppfyller dessa inte samtliga förutsättningar för att aktivera FoU-kostnader och dessa har därför kostnadsförts i sin helhet. De externa projekten ägs av bolagets samarbetspartner och BioArctic har inga kostnader för de kliniska programmen.

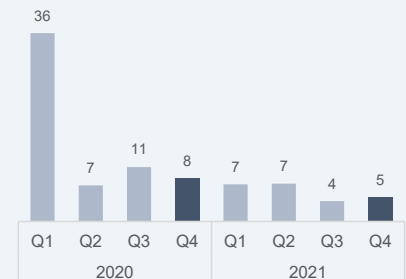
Rörelseresultatet före finansnetto uppgick till -39,4 MSEK (-30,2) för det fjärde kvartalet och till -139,7 MSEK (-85,0) för helåret. Minskningen jämfört med föregående år beror i huvudsak på lägre intäkter från Parkinsonprogrammet och från forskningssamarbetet med Eisai samt ökade projektkostnader och personalkostnader.

Summa finansiella poster uppgick till -0,3 MSEK (-1,1) under det fjärde kvartalet och till -0,8 MSEK (-1,7) för helåret. Finansiella intäkter består av finansiella valutakursvinster och finansiella kostnader består av negativ ränta på likvida medel samt ränta på leasingkulda.

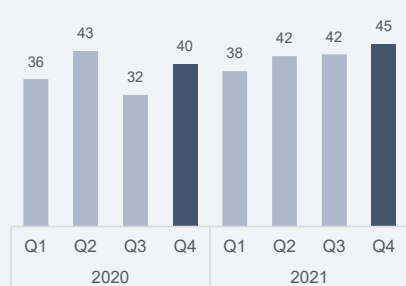
Periodens resultat uppgick till -19,0 MSEK (-13,2) för det fjärde kvartalet och till -119,8 MSEK (-68,5) för helåret.

Resultat per aktie före och efter utspädning uppgick till SEK -0,22 SEK (-0,15) för det fjärde kvartalet och till SEK -1,36 (-0,78) för helåret.

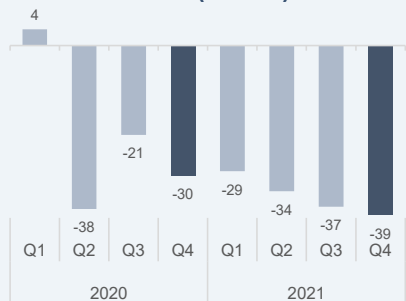
### Nettoomsättning (MSEK)



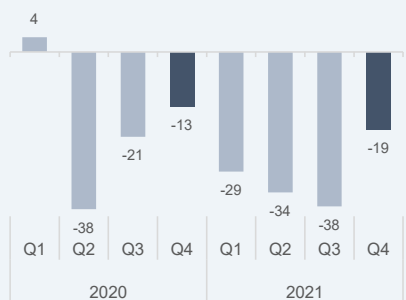
### Rörelsekostnader (MSEK)



### Rörelseresultat (MSEK)



### Periodens resultat (MSEK)





## LIKVIDITET OCH FINANSIELL STÄLLNING

Eget kapital uppgick till 788,7 MSEK per den 31 december 2021 jämfört med 907,3 per den 31 december 2020. Detta motsvarar eget kapital per utestående aktie om 8,96 SEK (10,30). Soliditeten uppgick till 87,9 procent den 31 december 2021 jämfört med 86,4 procent den 31 december 2020.

Koncernens likvida medel består av banktillgodohavanden och var vid årets utgång 848,4 MSEK jämfört med 999,9 MSEK per den 31 december 2020. Inga lån fanns upptagna per 31 december 2021 eller har tagits upp sedan dess. Koncernen har inga andra krediter eller lånelöften.

I syfte att neutralisera valutakursexponeringen placeras viss likviditet i utländsk valuta. Detta leder till effekter i redovisningen i samband med omvärdering av valuta till dagskurs, vilket redovisas i rörelseresultatet och bland finansiella intäkter och kostnader.

## KASSAFLÖDE OCH INVESTERINGAR

Fjärde kvartalets kassaflöde från den löpande verksamheten uppgick till -39,3 MSEK (-26,8) och till -140,5 MSEK (-92,3) för perioden januari - december.

Kassaflödet från investeringsverksamheten uppgick till -1,9 MSEK (-7,4) under fjärde kvartalet och för helåret till -4,4 MSEK (-12,5). Investeringarna avsåg huvudsakligen vetenskapliga instrument.

Kassaflödet från finansieringsverksamheten uppgick till -1,9 MSEK (-1,3) under fjärde kvartalet och för perioden januari - december till -7,4 MSEK (-6,6) och avser amortering av leasingskuld.

## MODERBOLAGET

All koncernens verksamhet bedrivs i moderbolaget.

## HÄNDELSE UNDER ÅRET

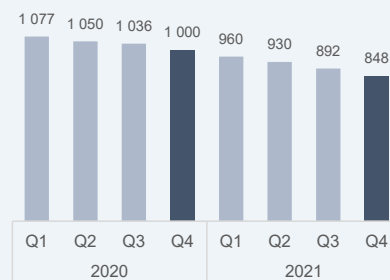
### FJÄRDE KVARTALET 2021

- Lecanemab beviljades Fast Track designation av amerikanska läkemedelsmyndigheten (FDA), vilket är ett FDA-program som avser stödja och påskynda utvecklingen av nya behandlingar för allvarliga sjukdomar med ett stort medicinskt behov såsom Alzheimers sjukdom.
- Den andra av tre delar i den stegvisa registreringsansökan enligt accelererat förfarande lämnades in.
- BioArctic kommunicerade att bolagets läkemedelsprojekt ND3014 syftar till att utveckla antikroppsläkemedel mot TDP-43, ett protein som anses spela en viktig roll i utvecklingen av den sällsynta neurodegenerativa sjukdomen ALS.
- BioArctic och bolagets samarbetspartner Eisai gav flera presentationer vid CTAD-kongressen som gav ytterligare stöd för lecanemab samt klargjorde likheter och viktiga skillnader i lecanemabs bindningsprofil jämfört med andra anti-amyloid-antikroppar.
- DIAN-TU (Dominantly Inherited Alzheimer Network Trials Unit) valde att inkludera lecanemab som anti-amyloid-basbehandling i en klinisk prövning med potentiella tau-läkemedel i personer med dominant ärftlig Alzheimers sjukdom. Syftet med studien är att bedöma vissa läkemedelskandidaters säkerhet och tolerabilitet, samt deras effekt på biomarkörer och kognition hos personer med ärftlig Alzheimers sjukdom.

### TREDJE KVARTALET 2021

- Eisai har inlett en stegvis ansökan, genom ett accelererat förfarande, för marknadsgodkännande av lecanemab till FDA.
- Data presenterade vid AAIC-kongressen från den öppna fas 2b-förlängningsstudierna gav ytterligare stöd för lecanemabs kliniska effekt. Vid samma kongress presenterades även ingångsvärdena för fas 3-studierna Clarity AD och AHEAD 3-45, samt möjligheten att använda specifika blodmarkörer för att följa effekten av läkemedel hos enskilda patienter.

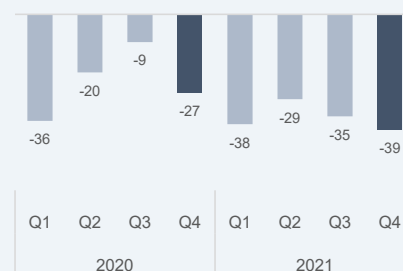
## Likvida medel (MSEK)



## Finansiell ställning (MSEK)

	31 dec 2021	31 dec 2020
Långfristiga leasingskulder	7,8	13,6
Kortfristiga leasingskulder	8,1	7,1
Likvida medel	848,4	999,9
<b>Netto likvida medel</b>	<b>832,5</b>	<b>979,2</b>

## Kassaflöde från den löpande verksamheten (MSEK)



Likvida medel  
(MSEK)  
**848**

- I september startade Eisai en fas 1-studie med subkutan administration av lecanemab. Studien genomfördes under hösten.
- Vid MDS-kongressen presenterade BioArctic prekliniska resultat och AbbVie resultat från fas 1-studien av ABBV-0805 som stödjer fortsatt utveckling av antikroppen för Parkinsons sjukdom.

#### **ANDRA KVARTALET 2021**

- FDA beviljade lecanemab Breakthrough Therapy designation i Alzheimers sjukdom.
- BioArctic stödjer forskning om fysisk aktivitet och hjärnhälsa i ett åttaårigt forskningsprojekt som drivs av Gymnastik- och idrottshögskolan, GIH.
- BioArctic fick japanskt patent för nya antikroppar mot Alzheimers sjukdom.
- Fas 2b-studieresultat med lecanemab i tidig Alzheimers sjukdom publicerade i tidskriften Alzheimers Research & Therapy och rekryteringen till den bekräftande fas 3-studien, Clarity AD, har slutförts med 1 795 patienter.

#### **FÖRSTA KVARTALET 2021**

- BioArctic presenterade resultat vid AD/PD-konferensen som visar att lecanemab kan utvecklas till en sjukdomsmodifierande behandling av personer med Downs syndrom med demens.
- Eisai presenterade preliminära data vid AD/PD-konferensen från den öppna förlängningsstudien av fas 2b-studien av lecanemab i tidig Alzheimers sjukdom som visade fortsatt stöd för att lecanemab minskar amyloidnivåerna i hjärnan.
- Eisai utökade antalet deltagare i Clarity AD-studien med cirka 200 patienter för att säkerställa robust data. Studieresultat förväntas i slutet av september 2022.
- BioArctic erhöll patentgodkännande från europeiska patentverket för antikroppar mot trunkerat amyloid-beta, antikroppsprojektet AD1503.

# Övrig information

## HÄNDELSER EFTER PERIODENS SLUT

- Den första individen i Tau NexGen-studien inkluderades under januari 2022 (DIAN-TU, ett USA-baserat nätverk för kliniska studier av dominant ärftlig Alzheimers sjukdom, har valt att inkludera lecanemab som anti-amyloid-basbehandling i studien).

## PATENT

Patent spelar en avgörande roll för bolagets framtida kommersiella möjligheter. BioArctic har därför en aktiv patentstrategi som täcker alla stora läkemedelsmarknader, inklusive USA, EU, Japan och Kina. BioArctics patentportfölj bestod vid årets slut av 14 patentfamiljer med över 230 beviljade patent och 60 pågående patentansökningar.

## PARTNERSKAP, SAMARBETEN OCH VÄSENTLIGA AVTAL

En viktig del i BioArctics strategi är samarbets- och utlicensieringsavtal med ledande läkemedels- och biofarmabolag. Förutom finansiell ersättning gynnas BioArctic av den kompetens som bolagets partner bidrar med inom läkemedelsutveckling, tillverkning och kommersialisering. BioArctic har ingått flera avtal med det japanska globala läkemedelsföretaget Eisai och det amerikanska globala biofarmabolaget AbbVie. Dessa strategiska partnerskap med ledande globala bolag bekräftar att BioArctics forskning håller en mycket hög kvalitet. I framtiden kan BioArctic komma att ingå ytterligare avtal som kan bidra med ytterligare finansiering samt forsknings- och utvecklingskompetens till BioArctics produktkandidater i preklinisk och klinisk fas, tillverknings- och marknadsföringskompetens, geografisk räckvidd och andra resurser.

Inom Alzheimers sjukdom samarbetar BioArctic med Eisai sedan 2005. Bolaget har ingått forskningsavtal och licensavtal rörande antikropparna lecanemab och BAN2401 back-up. Det totala värdet av dessa avtal kan uppgå till 222 MEUR och därtöver tillkommer royaltybetalningar. Hittills har cirka 66 MEUR erhållits och intäktsförts.

Inom Parkinsons sjukdom samarbetar BioArctic med AbbVie sedan 2016 då ett forskningsavtal ingicks inkluderande bland annat antikroppen BAN0805, numera ABBV-0805. I slutet av 2018 utövade AbbVie sin option att licensiera BioArctics portfölj med antikroppar mot alfa-synuklein för Parkinsons sjukdom och andra potentiella indikationer. BioArctic har haft huvudansvar för det prekliniska utvecklingsarbetet och AbbVie ansvarar för den kliniska utvecklingen. Det totala värdet av avtalet kan uppgå till 755 MUSD och därtöver tillkommer royaltybetalningar. Hittills har 130 MUSD erhållits. Mer information om BioArctics två stora samarbetspartner finns i årsredovisningen 2020 på sidorna 22, 29, 43 och 44.

Även samarbeten med universitet är av stor vikt för BioArctic. Bolaget har pågående samarbeten med framstående externa forskargrupper vid ett antal universitet.

## RISKER OCH OSÄKERHETSFAKTORER

Bolagsledningen gör antaganden, bedömningar och uppskattningar som påverkar innehållet i de finansiella rapporterna. Faktiskt utfall kan skilja sig från dessa bedömningar och uppskattningar vilket även framgår av redovisningsprinciperna. Målet med koncernens riskhantering är att identifiera, förebygga, mäta, kontrollera och begränsa riskerna i verksamheten. Väsentliga risker är desamma för moderbolaget och koncernen.

BioArctics verksamhets- och omvärldsrisker består i huvudsak av risker relaterade till forskning och utveckling, kliniska prövningar samt beroendet av nyckelpersoner. Styrelsen i BioArctic har under året kunnat konstatera att även om covid-19 har fortsatt att påverka samhället och människors dagliga liv så har viruset inte haft någon större påverkan på BioArctics verksamhet.

En utförlig beskrivning av riskexponering och riskhantering återfinns i BioArctics årsredovisning för 2020 på sidorna 50–53. Riskerna som identifierades i samband med årsredovisningen 2020 kvarstår i all väsentlighet.

## FLUKTUATIONER AVSEENDE INTÄKTSGENERERING

BioArctic har idag inget läkemedel som säljs på marknaden. Bolaget utvecklar ett antal läkemedelskandidater och diagnostik för Alzheimers sjukdom och Parkinsons sjukdom i samarbete med globala läkemedelsbolag. Bolaget bedriver även forskningsprojekt i egen regi inklusive nya potentiella antikroppsbehandlingar, diagnostik samt en blod-hjärnbarriärteknologiplattform. Bolaget tecknar forsknings- och licensavtal med samarbetsparter och erhåller då ersättning för forskning samt milstolpsersättningar och royalties, vilka bolaget använder för att finansiera befintliga och nya projekt. Milstolpsersättningar erhålls normalt då projektet når vissa förutbestämda utvecklingsmål, till exempel start av klinisk prövning, eller att en klinisk prövning går från en fas till en senare fas. Milstolpsersättningar kan även utgå vid inlämning av ansökningar till regulatoriska myndigheter, godkännanden och försäljningsmilstolpar. BioArctics intäkter uppstår därför tidsmässigt ojämnt.

## FRAMTIDSUTSIKTER

Bolaget har en stark finansiell ställning och en affärsmodell som för närvarande innebär att bolagets intäkter och resultat i huvudsak baseras på intäkter av engångskaraktär från forsknings- och licensavtal som bolaget ingått. Bolagets likviditet möjliggör en fortsatt utveckling av de projekt som omfattas av strategiska samarbetsavtal samt finansiering av bolagets egna projekt som är i tidig fas och därmed mindre kostsamma. BioArctics verksamhetsområden utgörs av unika läkemedelskandidater, en innovativ blod-hjärnbarriärteknologi

och diagnostik. Alla dessa områden har ett stort medicinskt behov. Samtliga projekt är fokuserade på sjukdomar i det centrala nervsystemet och har en stor marknadspotential. BioArctics ambition är att skapa framtidens läkemedel för patienter med sjukdomar i det centrala nervsystemet.

### PROGNOS AVSEENDE RÖRELSENS KOSTNADER

Rörelsens kostnader för räkenskapsåret januari – december 2022 förväntas uppgå till 220 - 260 MSEK. Kostnaderna för 2021 uppgick till 166 MSEK, vilket var inom intervallet för prognosen om 160 – 190 MSEK. Under de senaste tre åren har den genomsnittliga kostnadsnivån per år varit cirka 170 MSEK. Uppbyggnad av den kommersiella organisationen inför potentiell lansering av lecanemab och kostnader för den utökade egna projektportföljen förklarar den förväntade högre kostnadsnivån för 2022.

### MEDARBETARE

Antalet anställda var 49 (45) vid kvartalets utgång. Av de anställda är 19 (18) män och 30 (27) kvinnor. Drygt 80 procent är verksamma inom FoU och drygt 70 procent har disputerat.

För att bedriva en effektiv verksamhet med en kostnadseffektiv organisation anlitar BioArctic konsulter för specifika uppdrag och arbetsuppgifter inom kompetensområden som bolaget saknar eller endast periodvis har behov av. Per den 31 december 2021 uppgick antalet konsulter till motsvarande 11 (12) heltidstjänster.

### AKTIEN OCH ÄGARFÖRHÅLLANDEN

Aktiekapitalet i BioArctic uppgår till 1 761 200 SEK och består av 88 059 985 aktier fördelat på 14 399 996 A-aktier och 73 659 989 B-aktier. Kvotvärdet för båda aktieslagen är 0,02 SEK per aktie. A-aktien har ett röstvärde om 10 röster per aktie medan B-aktien har ett röstvärde om 1 röst per aktie.

### STÖRSTA AKTIEÄGARNA PER DEN 31 DECEMBER 2021<sup>1</sup>

	Antal		Andel av (%)	
	A-aktier	B-aktier	kapital	röster
Demban AB (Lars Lannfelt)	8 639 998	22 628 052	35,5	50,1
Ackelsta AB (Pär Gellerfors)	5 759 998	15 086 301	23,7	33,4
Fjärde AP-fonden	-	4 300 000	4,9	2,0
Tredje AP-fonden	-	2 994 097	3,4	1,4
Swedbank Robur Fonder	-	2 984 683	3,4	1,4
Unionen	-	2 391 835	2,7	1,1
Handelsbanken Fonder	-	1 471 572	1,7	0,7
Investment AB Öresund	-	1 330 000	1,5	0,6
Wellington Management	-	1 240 709	1,4	0,6
SEB Fonder	-	1 154 633	1,3	0,5
<b>Tot 10 största aktieägarna</b>	<b>14 399 996</b>	<b>55 581 882</b>	<b>79,5</b>	<b>91,8</b>
Övriga	-	18 078 107	20,5	8,2
<b>Totalt</b>	<b>14 399 996</b>	<b>73 659 989</b>	<b>100,0</b>	<b>100,0</b>

1) Källa: Monitor av Modular Finance AB. Sammanställd och bearbetade data från bland annat Euroclear, Morningstar och Finansinspektionen.

### ÅRSSTÄMMA 2022

BioArctics årsstämma äger rum den 5 maj klockan 16:30. Mer detaljer om stämman och huruvida stämman, till följd av utvecklingen av covid-19, kommer att hållas fysiskt eller enbart via förhandsröstning, så kallad poströstning kommer att presenteras närmare i en kallelse.

### VALBEREDNING

I enlighet med beslut vid årsstämman 2021 har valberedningen inför årsstämman 2022 utsetts och offentliggjorts. Valberedningen utgörs av: Jannis Kitsakis, ordförande (Fjärde AP-fonden), Margareta Öhrvall (Demban AB) och Claes Andersson (Ackelsta AB). Bolagets ordförande Wenche Rolfsen är adjungerad i valberedningen.

### UTDELNING

Styrelsen föreslår att ingen utdelning ska utgå för räkenskapsåret 2021.

### LÅNGSIKTIGA INCITAMENTSPROGRAM

Årsstämman 2019 godkände styrelsens förslag till beslut beträffande personaloptionsprogram avsett för bolagets ledning, forskare och övrig personal samt förslag om riktad emission av teckningsoptioner och förslag om godkännande av överlåtelse av teckningsoptioner eller aktier i bolaget till deltagare i personaloptionsprogrammet.

Personaloptionsprogrammet 2019/2028 omfattar högst 1 000 000 personaloptioner. För att möjliggöra bolagets leverans av aktier enligt personaloptionsprogrammet 2019/2028 beslutade årsstämman om riktad emission av högst 1 000 000 teckningsoptioner.

Den maximala utspädningseffekten av personaloptionsprogrammet 2019/2028 beräknas uppgå till 1,1 procent av aktiekapitalet och 0,5 procent av rösterna i bolaget (beräknat utifrån antalet befintliga aktier i bolaget), förutsatt att fullt utnyttjande av samtliga personaloptioner sker. Personaloptionerna får utnyttjas för aktieteckning tidigast tre år efter tilldelning. Vid kvartalets utgång har tilldelning skett av 580 000 personaloptioner. Inga optioner tilldelades under fjärde kvartalet 2021. Tilldelningen av personaloptioner ger en utspädningseffekt motsvarande 550 000 eller 0,6 procent av aktierna vid periodens utgång. Dessa optioner inkluderas dock ej i beräkningen av resultat per aktie efter utspädning då bolaget redovisar negativt resultat. Mer information finns tillgänglig på

[www.bioarctic.se](http://www.bioarctic.se)

Informationen lämnades genom kontaktpersonernas försorg, den 3 februari 2022, klockan 08:00 (CET).

Denna delårsrapport har inte varit föremål för översiktlig granskning av BioArctics revisorer.

Stockholm den 3 februari 2022

Gunilla Osswald  
Verkställande direktör, BioArctic AB (publ)

## INBJUDAN TILL PRESENTATION AV BOKSLUTSKOMMUNIKÉN FÖR JANUARI – DECEMBER 2021

BioArctic bjuder in investerare, analytiker och media till en audiocast med telefonkonferens (på engelska) idag den 3 februari, klockan 09:30-10:30 (CET). Vd Gunilla Osswald och CFO Jan Mattsson presenterar BioArctic och kommenterar delårsrapporten samt svarar på frågor.

Webbcast: <https://tv.streamfabriken.com/bioarctic-q4-2021>

För att delta i telefonkonferensen, vänligen ring: +46 8 505 583 75 (Sverige), +45 823 331 94 (Danmark), +31 207 219 496 (Nederländerna), +47 235 002 36 (Norge), +41 225 675 632 (Schweiz), +44 333 300 9264 (Storbritannien), +49 692 222 391 66 (Tyskland) eller +1 646 722 4902 (USA)

## KALENDARIUM 2022

Årsredovisning 2021 (svenska) publiceras	31 mars 2022
Delårsrapport jan- mar 2022	28 april 2022, klockan 08:00 CET
Årsstämma 2022	5 maj 2022, klockan 16:30 CET
Delårsrapport jan-jun 2022	12 juli 2022, klockan 08:00 CET
Delårsrapport jan-sep 2022	20 oktober 2022, klockan 08:00 CET
Bokslutskommuniké jan-dec 2022	3 februari 2023, klockan 08:00 CET

## FÖR YTTERLIGARE INFORMATION VÄNLIGEN KONTAKTA

Gunilla Osswald, vd, [gunilla.osswald@bioarctic.se](mailto:gunilla.osswald@bioarctic.se), tel: 08-695 69 30  
Jan Mattsson, CFO, [jan.mattsson@bioarctic.se](mailto:jan.mattsson@bioarctic.se), tel: 070-352 27 72  
Oskar Bosson, VP Communications & Investor Relations, [oskar.bosson@bioarctic.se](mailto:oskar.bosson@bioarctic.se), tel: 070-410 71 80

# BioArctic AB (publ)

Organisationsnummer 556601-2679  
Warfvinges väg 35, SE-112 51, Stockholm  
Telefonnummer 08-695 69 30  
[www.bioarctic.se](http://www.bioarctic.se)

Denna rapport har upprättats i ett svenskt original och har översatts till engelska. Vid skillnader mellan de två ska den svenska versionen gälla.





# Finansiella rapporter, koncernen

## KONCERNENS RESULTATRÄKNING

kSEK	Q4		jan-dec	
	2021	2020	2021	2020
Nettoomsättning (not 4)	4 706	8 360	23 146	62 347
Övriga rörelseintäkter	569	1 359	3 542	3 597
<b>Rörelsens intäkter</b>	<b>5 275</b>	<b>9 719</b>	<b>26 688</b>	<b>65 943</b>
<b>Rörelsens kostnader</b>				
Projektkostnader	-16 528	-13 376	-55 067	-50 242
Övriga externa kostnader	-7 418	-6 084	-24 851	-23 370
Personalkostnader	-17 078	-16 523	-72 499	-62 977
Avskrivningar av anläggningstillgångar	-3 253	-3 076	-13 108	-11 013
Övriga rörelsekostnader	-355	-818	-886	-3 353
<b>Rörelsens kostnader</b>	<b>-44 632</b>	<b>-39 877</b>	<b>-166 411</b>	<b>-150 955</b>
<b>Rörelseresultat</b>	<b>-39 357</b>	<b>-30 158</b>	<b>-139 723</b>	<b>-85 012</b>
Finansiella intäkter	40	-227	194	7
Finansiella kostnader	-305	-866	-984	-1 686
<b>Resultat före skatt</b>	<b>-39 622</b>	<b>-31 251</b>	<b>-140 512</b>	<b>-86 691</b>
Skatt	20 666	18 052	20 722	18 174
<b>Periodens resultat</b>	<b>-18 955</b>	<b>-13 198</b>	<b>-119 789</b>	<b>-68 517</b>
<b>Resultat per aktie</b>				
Resultat per aktie före utspädning, SEK	-0,22	-0,15	-1,36	-0,78
Resultat per aktie efter utspädning, SEK	-0,22	-0,15	-1,36	-0,78

## KONCERNENS RAPPORT ÖVER TOTALRESULTAT

kSEK	Q4		jan-dec	
	2021	2020	2021	2020
Periodens resultat	-18 955	-13 198	-119 789	-68 517
Övrigt totalresultat	-	-	-	-
<b>Periodens totalresultat hänförligt till moderbolagets aktieägare</b>	<b>-18 955</b>	<b>-13 198</b>	<b>-119 789</b>	<b>-68 517</b>

## KONCERNENS BALANSRÄKNING I SAMMANDRAG

kSEK	31 dec 2021	31 dec 2020
<b>TILLGÅNGAR</b>		
Materiella anläggningstillgångar	16 963	18 120
Nyttjanderättstillgångar	16 785	21 820
Uppskjutna skattefordringar	608	452
Finansiella anläggningstillgångar	1 588	1 562
Omsättningstillgångar exklusive likvida medel	13 380	8 420
Likvida medel	848 405	999 940
<b>SUMMA TILLGÅNGAR</b>	<b>897 730</b>	<b>1 050 313</b>
<b>EGET KAPITAL OCH SKULDER</b>		
Eget kapital	788 676	907 299
Uppskjutna skatteskulder	-	20 666
Långfristiga leasingskulder	7 785	13 627
Kortfristiga leasingskulder	8 092	7 141
Övriga kortfristiga skulder	15 737	17 887
Upplupna kostnader och förutbetalda intäkter	77 438	83 692
<b>SUMMA EGET KAPITAL OCH SKULDER</b>	<b>897 730</b>	<b>1 050 313</b>

KONCERNENS FÖRÄNDRINGAR I EGET KAPITAL I SAMMANDRAG<sup>1</sup>

kSEK	31 dec 2021	31 dec 2020
Ingående balans per 1 januari	907 299	974 497
Rättelse av ingående balans	-402	-
Periodens totalresultat	-119 789	-68 517
Aktierelaterade ersättningar	1 567	1 319
<b>Utgående balans per balansdagen</b>	<b>788 676</b>	<b>907 299</b>

KONCERNENS RAPPORT ÖVER KASSAFLÖDE<sup>2</sup>

kSEK	Q4		jan-dec	
	2021	2020	2021	2020
Rörelseresultat	-39 357	-30 158	-139 723	-85 012
Justering för poster som inte ingår i kassaflödet	1 560	1 767	5 230	-19 991
Erhållen/betald ränta	-71	-859	-597	-1 679
Betald inkomstskatt	-425	-367	-309	-12 217
<b>Kassaflöde från den löpande verksamheten före förändringar av rörelsekapital</b>	<b>-38 293</b>	<b>-29 617</b>	<b>-135 398</b>	<b>-118 899</b>
Förändringar i rörelsekapital	-961	2 846	-5 059	26 558
<b>Kassaflöde från den löpande verksamheten</b>	<b>-39 254</b>	<b>-26 771</b>	<b>-140 457</b>	<b>-92 341</b>
<b>Kassaflöde från investeringsverksamheten</b>	<b>-1 888</b>	<b>-7 447</b>	<b>-4 412</b>	<b>-12 524</b>
<b>Kassaflöde från finansieringsverksamheten</b>	<b>-1 936</b>	<b>-1 257</b>	<b>-7 388</b>	<b>-6 598</b>
<b>Periodens kassaflöde</b>	<b>-43 078</b>	<b>-35 475</b>	<b>-152 257</b>	<b>-111 463</b>
Likvida medel vid periodens början	891 525	1 036 295	999 940	1 112 770
Kursdifferens i likvida medel	-42	-881	723	-1 367
<b>Likvida medel vid periodens slut</b>	<b>848 405</b>	<b>999 940</b>	<b>848 405</b>	<b>999 940</b>

1) Ett mindre fel upptäcktes vid övergång till nytt system för omräkning enligt IFRS 16 vilket påverkar ingående balans för eget kapital med 0,4 MSEK motsvarande 0,05 %.

2) För jämförelseperioden jan-dec 2020 har justering om 1 460 kSEK gjorts mellan raderna Förändring i rörelsekapital och Kassaflöde från investeringsverksamhet jämfört med delårsrapport för Q4 2020.

## KONCERNENS KVARTALSDATA

MSEK	2021	2021	2021	2021	2020	2020	2020	2020
	Q4	Q3	Q2	Q1	Q4	Q3	Q2	Q1
<b>Resultaträkning</b>								
Nettoomsättning	5	4	7	7	8	11	7	36
Övriga intäkter	1	1	1	2	1	1	-2	3
Rörelsens kostnader	-45	-42	-42	-38	-40	-32	-43	-36
Rörelseresultat	-39	-37	-34	-29	-30	-21	-38	4
Rörelsemarginal, %	neg	neg	neg	neg	neg	neg	neg	10,4
Periodens resultat	-19	-38	-34	-29	-13	-21	-38	4
<b>Balansräkning</b>								
Anläggningstillgångar	36	37	39	40	42	36	35	37
Omsättningstillgångar	13	6	5	5	8	4	14	29
Likvida medel	848	892	930	960	1 000	1 036	1 050	1 077
Eget kapital	789	807	844	879	907	920	940	978
Uppskjutna skatteskulder	-	21	21	21	21	39	39	39
Leasingskulder	16	18	19	19	21	22	23	25
Kortfristiga skulder	93	90	89	87	102	95	98	101
<b>Kassaflöde</b>								
Från den löpande verksamheten	-39	-35	-29	-38	-27	-9	-20	-36
Från investeringsverksamheten	-2	-2	-0	-1	-7	-3	-1	-0
Från finansieringsverksamheten	-2	-2	-2	-2	-1	-1	-2	-3
Periodens kassaflöde	-43	-38	-31	-40	-35	-14	-23	-39
<b>Nyckeltal</b>								
Soliditet, %	87,9	86,3	86,7	87,3	86,4	85,5	85,5	85,6
Avkastning på eget kapital, %	-2,4	-4,5	-4,0	-3,3	-1,4	-2,2	-4,0	0,4
<b>Data per aktie</b>								
Resultat per aktie före utspädning, SEK	-0,22	-0,43	-0,39	-0,33	-0,15	-0,23	-0,43	0,04
Resultat per aktie efter utspädning, SEK	-0,22	-0,43	-0,39	-0,33	-0,15	-0,23	-0,43	0,04
Eget kapital per aktie, SEK	8,96	9,17	9,59	9,98	10,30	10,45	10,68	11,11
Kassaflöde från den löpande verksamheten per aktie, SEK	-0,45	-0,39	-0,33	-0,43	-0,30	-0,11	-0,22	-0,41
Aktiekurs vid periodens slut, SEK	119,20	162,60	137,80	91,00	95,40	88,95	73,35	61,50
Antal utestående aktier vid periodens slut, tusental	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060
Genomsnittligt antal utestående aktier före utspädning, tusental	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060	88 060
Genomsnittligt antal utestående aktier efter utspädning, tusental	88 610	88 585	88 560	88 560	88 332	88 105	88 092	88 070

# Finansiella rapporter, moderbolaget

## MODERBOLAGETS RESULTATRÄKNING

kSEK	Q4		jan-dec	
	2021	2020	2021	2020
Nettoomsättning	4 706	8 360	23 146	62 347
Övriga rörelseintäkter	569	1 359	3 542	3 597
<b>Rörelsens intäkter</b>	<b>5 275</b>	<b>9 719</b>	<b>26 688</b>	<b>65 943</b>
<b>Rörelsens kostnader</b>				
Projektkostnader	-16 528	-13 376	-55 067	-50 242
Övriga externa kostnader	-9 531	-8 095	-33 224	-31 161
Personalkostnader	-17 078	-16 523	-72 499	-62 977
Avskrivningar av anläggningstillgångar	-1 360	-1 241	-5 604	-3 829
Övriga rörelsekostnader	-354	-818	-885	-3 353
<b>Rörelsens kostnader</b>	<b>-44 851</b>	<b>-40 053</b>	<b>-167 279</b>	<b>-151 561</b>
<b>Rörelseresultat</b>	<b>-39 576</b>	<b>-30 335</b>	<b>-140 591</b>	<b>-85 618</b>
Finansiella intäkter	40	-227	194	7
Finansiella kostnader	-120	-642	-145	-707
<b>Resultat efter finansiella poster</b>	<b>-39 656</b>	<b>-31 203</b>	<b>-140 542</b>	<b>-86 318</b>
Bokslutsdispositioner	94 809	81 865	94 809	81 865
<b>Resultat före skatt</b>	<b>55 153</b>	<b>50 662</b>	<b>-45 733</b>	<b>-4 453</b>
Skatt	8	22	63	75
<b>Periodens resultat</b>	<b>55 160</b>	<b>50 684</b>	<b>-45 670</b>	<b>-4 378</b>

I moderbolaget finns det inga poster som redovisas som övrigt totalresultat varför summa totalresultat överensstämmer med årets resultat.

## MODERBOLAGETS BALANSRÄKNING I SAMMANDRAG

kSEK	31 dec 2021	31 dec 2020
<b>TILLGÅNGAR</b>		
Materiella anläggningstillgångar	16 963	18 120
Uppskjutna skattefordringar	388	325
Finansiella anläggningstillgångar	1 638	1 612
Omsättningstillgångar exklusive likvida medel	15 353	9 882
Likvida medel	848 359	999 892
<b>SUMMA TILLGÅNGAR</b>	<b>882 702</b>	<b>1 029 831</b>
<b>EGET KAPITAL OCH SKULDER</b>		
Eget kapital	789 526	833 628
Obeskattade reserver	-	94 809
Övriga kortfristiga skulder	15 737	17 702
Upplupna kostnader och förutbetalda intäkter	77 438	83 692
<b>SUMMA EGET KAPITAL OCH SKULDER</b>	<b>882 702</b>	<b>1 029 831</b>

# Noter

## NOT 1 ALLMÄN INFORMATION

Denna bokslutskommuniké för januari – december 2021 omfattar det svenska moderbolaget BioArctic AB (publ), organisationsnummer 556601-2679, samt det helägda dotterbolaget LPB Sweden AB, organisationsnummer 559035-9112. All koncernens verksamhet bedrivs i moderbolaget. BioArctic är ett aktiebolag registrerat i och med säte i Stockholm. Adressen till huvudkontoret är Warfvinges väg 35, SE-112 51, Stockholm.

## NOT 2 REDOVISNINGSPRINCIPER

Koncernredovisning för BioArctic AB (publ) har upprättats i enlighet med International Financial Reporting Standards (IFRS) såsom de har antagits av EU, årsredovisningslagen (ÅRL) samt Rådet för finansiell rapportering RFR 1 Kompletterande redovisningsregler för koncerner. Moderbolagets finansiella rapporter är upprättade i enlighet med Årsredovisningslagen och RFR 2 Redovisning för juridiska personer.

Bokslutskommunikén för perioden januari – december 2021 är upprättad i enlighet med IAS 34 Delårsrapportering och årsredovisningslagen. Upplysningar enligt IAS 34 lämnas såväl i noter som på annan plats i delårsrapporten. De

redovisningsprinciper och beräkningsmetoder som tillämpas är i överensstämmelse med de som beskrivs i årsredovisningen för 2020. Nya och ändrade IFRS-standarder och tolkningar med tillämpning från 2021 har inte väsentligt påverkat de finansiella rapporterna.

ESMA:s (European Securities and Markets Authority) riktlinjer om alternativa nyckeltal tillämpas och det innebär upplysningskrav avseende finansiella mått som inte är definierade enligt IFRS. För nyckeltal ej definierade enligt IFRS, se avsnittet Definition av nyckeltal.

## NOT 3 SEGMENTSINFORMATION

Ett rörelsesegment är en del av koncernen som bedriver verksamhet från vilken den kan generera intäkter och ådrar sig kostnader och för vilka det finns fristående finansiell information tillgänglig. Högste verkställande beslutsfattare i koncernen följer upp verksamheten på aggregerad nivå vilket innebär att verksamheten utgör ett och samma segment och ingen separat segmentsinformation presenteras därför. Styrelsen är identifierad som högste verkställande beslutsfattare i koncernen.

## NOT 4 NETTOOMSÄTTNING

kSEK	Q4		jan-dec	
	2021	2020	2021	2020
<b>Nettoomsättning per geografisk marknad</b>				
Europa	1 926	2 291	8 466	33 805
Asien	2 780	6 069	14 681	28 541
<b>Summa nettoomsättning</b>	<b>4 706</b>	<b>8 360</b>	<b>23 147</b>	<b>62 347</b>
<b>Nettoomsättning per intäktslag</b>				
Milstolpsersättning, redovisas vid viss tidpunkt	-	-	-	-
Ersättning forskningsavtal, redovisas över tid	4 706	8 360	23 147	62 347
<b>Summa nettoomsättning</b>	<b>4 706</b>	<b>8 360</b>	<b>23 147</b>	<b>62 347</b>

BioArctics nettoomsättning utgörs i allt väsentligt av intäkter från forskningssamarbeten inom Parkinsons sjukdom med AbbVie och Alzheimers sjukdom med Eisai. Enligt samarbetsavtalet med AbbVie erhöll BioArctic en inledande betalning om 701,6 MSEK eller 80 MUSD under tredje kvartalet 2016. Betalningen utgjorde ersättning för det prekliniska utvecklingsarbetet som BioArctic ska utföra under avtalet. Av den inledande betalningen redovisades 70,4 MSEK som en engångsersättning under 2016. Resterande del av betalningen periodiseras utifrån nedlagda kostnader fram till och med projektets slut. Projektet utvärderas löpande utifrån status och återstående kostnader. I samband med att en omvärdering gjorts av Parkinsonprogrammets totala

kostnader, då programmet utvecklats bättre än ursprunglig plan, bokfördes en positiv engångsintäkt om 22,8 MSEK under första kvartalet 2020. Per den 31 december 2021 har 643,2 MSEK intäktsförts från samarbetsavtalet med AbbVie och kvar att intäktsredovisa för projektet är 58,5 MSEK. Under fjärde kvartalet 2021 har 1,9 MSEK intäktsförts.

Innevarande forskningssamarbetsavtal med Eisai avser perioden juli 2021 – juni 2022. Intäkterna för forskningssamarbetsavtalet redovisas över tid baserat på uppfyllande av prestationsåtagandet. Per den 31 december 2021 hade 4,9 MSEK intäktsförts, varav 2,8 MSEK under det fjärde kvartalet 2021.



# Definition av nyckeltal

BioArctic redovisar i denna finansiella rapport vissa finansiella nyckeltal, inklusive nyckeltal vilka inte definieras i enlighet med IFRS. Bolaget bedömer att dessa nyckeltal är ett viktigt komplement, eftersom de möjliggör för bland annat investerare, värdepappersanalytiker, bolagets ledning och andra intressenter att bättre analysera och utvärdera bolagets verksamhet och ekonomiska trender. Dessa finansiella nyckeltal ska inte bedömas fristående eller anses ersätta prestationsnyckeltal som har beräknats i enlighet med IFRS. Dessutom bör sådana nyckeltal, såsom BioArctic har

definierat dem, inte jämföras med andra nyckeltal med liknande namn som används av andra bolag. Detta beror på att ovannämnda nyckeltal inte alltid definieras på samma sätt och andra bolag kan räkna fram dem på ett annat sätt än BioArctic.

Nyckeltalen ”Nettoomsättning”, ”Periodens resultat”, ”Resultat per aktie” och ”Kassaflöde från den löpande verksamheten” är definierade enligt IFRS.

Nyckeltal	Definition
Övriga intäkter	Andra intäkter än nettoomsättning
Rörelseresultat	Resultat före finansiella poster
Rörelsemarginal, %	Rörelseresultat dividerat med nettoomsättningen
Kassaflöde från den löpande verksamheten per aktie, SEK	Periodens kassaflöde från den löpande verksamheten dividerat med vägt genomsnittligt antal utestående aktier
Soliditet, %	Justerat eget kapital dividerat med balansomslutningen
Avkastning på eget kapital, %	Resultat efter skatt dividerat med genomsnittligt justerat eget kapital
Eget kapital per aktie	Justerat eget kapital dividerat med antalet aktier vid periodens slut

# Ordlista

## Accelererat förfarande för marknadsgodkännande

Ett förfarande som ger en möjlighet till ett tidigare godkännande av en läkemedelskandidat där företaget senare ska presentera ytterligare data som verifierar klinisk effekt för att erhålla ett fullt marknadsgodkännande.

## ADAS-Cog

ADAS-Cog (Alzheimer's Disease Assessment Scale-cognitive subscale) är en väletablerad kognitionsskala, varav delar ingår i ADCOMS.

## ADCOMS

Alzheimer's Disease Composite Score – en kognitionsskala som består av delar från tre olika skalor (CDR-SB, ADAS-Cog och MMSE) utvecklad av Eisai. Kognitionsskalan möjliggör en känslig mätning av förändringar i symtom vid tidig Alzheimers sjukdom.

## ADCS-ADL-MCI

ADCS-ADL-MCI (Alzheimer's Disease Cooperative Study - Activities of Daily Living - Mild cognitive impairment) är en klinisk skala med fokus på vardagliga aktiviteter av särskild relevans vid mild kognitiv störning.

## Alfa-synuklein ( $\alpha$ -synuklein)

Protein som finns naturligt i kroppen och som vid Parkinsons sjukdom veckar ihop sig på fel sätt och bildar skadliga strukturer inuti hjärnceller.

## Amyloid-beta ( $A\beta$ )

Naturligt förekommande protein i hjärnan som vid Alzheimers sjukdom veckar ihop sig på fel sätt till skadliga strukturer i hjärnan. Amyloid-beta bildar de plack omkring hjärnceller som syns hos patienter med Alzheimers sjukdom.

## Antikropp

Biologisk molekyl som härstammar från immunsystemet och binder till en mål molekyl med hög träffsäkerhet.

## ApoE (Apolipoprotein E)

ApoE transporterar fetter i blodet. ApoE finns i tre varianter. Människor som uttrycker ApoE4 har större risk att få Alzheimers sjukdom.

## ARIA-E

En form av hjärnödem som förekommer hos vissa patienter som behandlas med anti-amyloida monoklonala antikroppar mot Alzheimers sjukdom.

## Bindningsprofil

Antikroppens bindningsprofil avgör på vilket sätt och till vilka former av proteinet (t ex amyloid-beta eller alfa-synuklein) som antikroppen binder.

## Biomarkör

En mätbar indikator av ett sjukdomstillstånd.

## Blod-hjärnbarriären

En struktur av tätt bundna celler som omger blodkärl i hjärnan. Barriären styr utbytet av näring och avfall och skyddar från bakterier och virus.

## Breakthrough Therapy designation

Breakthrough Therapy designation är ett FDA-program som är avsett att underlätta och påskynda utveckling och granskning av läkemedel för allvarliga eller livshotande tillstånd.

## CDR-SB

CDR-SB (Clinical Dementia Rating Sum of Boxes) är en kognitions- och funktions skala som ingår i ADCOMS.

## Centrala nervsystemet (CNS)

Den del av kroppens nervsystem som består av hjärnan och ryggmärgen.

## Dosberoende

Ökande effekt med ökad dos.

## Fas 1-studie

Studie av en läkemedelskandidats säkerhet och tolerabilitet i ett begränsat antal friska personer eller patienter.

## Fas 2-studie

Studier av en läkemedelskandidats säkerhet och effekt hos ett begränsat antal patienter. Senare del av fas 2-studier kan kallas fas 2b och utvärderar optimal dosering av det studerade läkemedlet.

## Fas 3-studie

Bekräftande studier av en läkemedelskandidats effekt och säkerhet i ett stort antal patienter.

## Fast Track Designation

Fast Track Designation är ett FDA-program som är avsett att underlätta och påskynda utveckling och granskning av läkemedel för allvarliga eller livshotande tillstånd.

## FDA (US Food and Drug Administration)

Den amerikanska läkemedelsmyndigheten.

## Forskningsfas

Tidig forskning inriktad på att studera och klarlägga de underliggande molekylära sjukdomsmekanismerna och ta fram läkemedelskandidater.

## Interimsanalys

Statistisk analys som görs under en pågående klinisk studie för att utvärdera preliminära fynd.

## Kliniska studier

Läkemedelsprövning som utförs på människor.

**Licensering**

Överenskommelse där ett bolag som uppfunnit ett läkemedel ger ett annat bolag rättigheten att vidareutveckla och sälja läkemedlet mot en viss betalning.

**Läkemedelskandidat**

Ett läkemedel under utveckling som ännu inte erhållit marknadsgodkännande.

**Milstolpsersättning**

Ekonomisk ersättning som erhålls inom ramen för ett projekt eller samarbetsavtal när ett specificerat mål har uppnåtts.

**Monomer**

Enskild molekyl med förmåga att binda till andra liknande molekyler för att bilda större strukturer som oligomerer och protofibriller.

**Neurodegenerativa sjukdomar**

Sjukdom som innebär en stegvis nedbrytning och försämring av hjärnans och nervsystemets funktion.

**Oligomer**

Molekyl bestående av ett fåtal monomerer.

**Patologi**

Läran om sjukdomar och hur de diagnostiseras, genom analys av molekyler, celler, vävnader och organ.

**PET**

Positronemissionstomografi, en bilddiagnostisk metod som används för att göra medicinska undersökningar.

**Placebokontrollerad**

Studiedesign inom forskning som innebär att en del av patienterna får överksam substans för att få en relevant jämförelsegrupp.

**Preklinisk (asymtomatisk) Alzheimers sjukdom**

Normal kognitiv funktion men med förhöjda nivåer av amyloid-beta i hjärnan.

**Preklinisk fas**

Förberedande studier inför kliniska prövningar av läkemedelskandidater.

**Prekliniska studier**

Studier utförda i modellsystem i laboratorier innan man utför kliniska studier på människor.

**Produktkandidat**

En produkt under utveckling som ännu inte erhållit marknadsgodkännande.

**Protofibriller**

En skadlig aggregationsform av amyloid-beta som bildas i hjärnan och ger upphov till Alzheimers sjukdom eller är en skadlig aggregationsform av alfa-synuklein som bildas i hjärnan och ger upphov till Parkinson sjukdom.

**Selektiv bindning**

Benägenhet hos en molekyl att binda till en specifik receptor.

**Sjukdomsmodifierande behandling**

Behandling som griper in i sjukdomens processer och förändrar denna på ett positivt sätt.

**Tidig Alzheimers sjukdom**

Mild kognitiv störning till följd av Alzheimers sjukdom och mild Alzheimers sjukdom.

**Tolerabilitet**

Graden av biverkningar från ett läkemedel som kan tolereras av en patient.

**Trunkerat amyloid-beta**

Avkortade (trunkerade) former av amyloid-beta proteinet.

**Öppen förlängningsstudie**

Klinisk studie som genomförs efter en avslutad randomiserad och placebokontrollerad studie och där alla patienter får aktiv substans.

