



2023 年 4 月 19 日

各 位

会社名 株式会社 モダリス
代表者名 代表取締役 CEO 森田 晴彦
(コード：4883、東証グロース)
問合せ先 執行役員 CFO 小林 直樹
(TEL. 03-6822-4584)

第 26 回 米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT) で MDL-101 の前臨床データ発表に関するお知らせ

筋ジストロフィーの遺伝性疾患の治療に向けた開発をサポートするデータを発表予定

- 先天性筋ジストロフィー1a 型 (LAMA2-CMD) に対する差別化されたプレジジョン・メディシン (精密医療) である MDL-101 の有効性を裏付けるマウス及びサルの前臨床試験データについて
- 当社が世界で先行する CRISPR を用いたエピジェネティック編集技術が、高等動物においても標的遺伝子の発現を制御することを示す前臨床データにより、重篤な遺伝子疾患に対する治療アプローチとして臨床効果を示す可能性について

当社は、米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT : The American Society of Gene & Cell Therapy) の第 26 回年次学会 (開催時期 : 2023 年 5 月 16 日～5 月 20 日、開催場所 : 米国ロサンゼルス) において、Late-Breaking Abstract* に採択され、以下の研究成果を発表することになりましたので、お知らせします。

ASGCT でのモダリスの発表には、以下のことを証明する前臨床データが含まれる予定です。

- LAMA-2 ノックアウトマウス (病態モデルマウス) 及びサルにおいて、筋肉特異的 AAV ベクター (キャプシド) に導入された LAMA-1 遺伝子を標的とする CRISPR-GNDM®分子 (MDL-101) は、当該病態モデル動物において失われた LAMA-2 機能を補完するレベルまで LAMA-1 の発現を引き上げた。これは LAMA2-CMD の臨床における治療効果の可能性を示唆する。

ASGCT では、MDL-101 の前臨床データとして、これまで治療が困難であった LAMA2-CMD に対する当社の CRISPR-GNDM®技術を活用した、差別化された治療戦略の有効性の検証を発表します。モダリスの CEO (最高経営責任者) である森田晴彦は、「当社独自の、また世界初の CRISPR によるエピジェネティック編集技術である CRISPR-GNDM®技術は、疾患の原因となる遺伝子の発現レベルを制御し、遺伝子疾患の根本的治療を実現する技術です。その技術を用いた MDL-101 は、筋肉特異的 AAV ベクターの採用によってさらに筋肉組織への選択性を高めたことにより、LAMA2-CMD 疾患の治療に対する根本的な遺伝子治療薬としてのポテンシャルが引き上げられました。現在 2024 年末までの IND 申請に向けて開発は順調に推移しています。本学会では、前臨床試験において有効性を示したマウス及びサルのデータを共有し、臨床における治療効果を示唆する可能性について議論したいと考えています。」と述べています。

* Late-Breaking Abstract : 通常の抄録提出期限を過ぎてから、最新のデータ等について影響が大きく、画期的・革新的で、報道価値がある (high impact, groundbreaking, innovative, and newsworthy) と認められたデータを発表するために設けられたセッション

当社の発表一覧は以下の通りです。抄録は米国時間 5 月 12 日以降に ASGCT のウェブサイトからアクセスすることができ、プレゼンテーションの内容は会議期間中に当社ウェブサイトに掲載されます。

米国遺伝子細胞治療学会第 26 回年次学会 (URL;<https://annualmeeting.asgct.org>)

口頭報告:

演題名: Advancing Epigenetic Editing with CRISPR-GNDM: Novel Muscle-Tropic AAV Vectors Deliver Promising
Single-Dose Treatment for LAMA2-CMD

日時: 2023 年 5 月 19 日 10:45AM (米国東海岸時間)

セッション名: Late-breaking Abstracts 2

以 上