



2022年4月20日

各位

会社名 株式会社 モダリス
代表者名 代表取締役社長 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)

**筋ジストロフィー及びタイチノパシーを含むその他の遺伝性疾患の治療に向けた
革新的なエピジェネティック編集薬の開発をサポートするデータを発表予定**

第25回 米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT) での発表内容に関するお知らせ

- 先天性筋ジストロフィー1a型に対する差別化された精密医療アプローチ MDL-101 の持続性と有効性を裏付ける前臨床試験データについて
- 当社独自のCRISPRを用いたエピジェネティック編集技術が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の可能性

当社は、米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT: The American Society of Gene & Cell Therapy) の第25回年次学会 (開催時期: 2022年5月16日~5月19日、開催場所: 米国ワシントンD.C) において、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において、LAMA-1 遺伝子を標的とする単一の AAV ベクターシステム (MDL-101 のマウス版) は、LAMA-2 機能を補完し、CMD1A 治療用として MDL-101 の開発継続を支持。
- 次世代シーケンスに基づく AAV ゲノムの完全性データで、目的の遺伝子を完全長で含む AAV 粒子の製造プロセスを担保。
- 齧歯類及び非ヒト霊長類における Cas9 タンパク質の持続的な長期発現を確認。

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CMD1Aに対する当社のCRISPR-GNDM® (Guide Nucleotide directed Modulation) 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CSO (最高科学責任者) である山形哲也博士は、「MDL-101は、CMD1Aの遺伝子組換え治療薬として患者さんの生活を変える可能性があり、2023年末までのIND申請に向けて順調に推移しています。また、当社独自のエピジェネティック編集技術により、疾患の原因となる遺伝子の発現レベルを回復させる治療効果を示す、素晴らしい前臨床データもASGCTでご紹介します。これらのデータは、他のプラットフォームではアプローチが不可能であった広範な重篤な遺伝性疾患を治療する可能性を持つ、独自のエピジェネティック編集アプローチを有している、という当社の見解を補強するものです。」と述べています。

当社の発表一覧は以下の通りです。抄録は5月1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25回年次学会 (URL; <https://annualmeeting.asgct.org>)

口頭報告:

演題名: NGS based evaluation of AAV genome integrity for improved production and function

日時: 2022年5月16日 11:45AM(米国東海岸時間 以下同じ)

セッション名: Vector Manufacturing and Engineering 1

演題名: Novel single AAV vector treatment for Congenital Muscular Dystrophy type 1A (MDC1A) using CRISPR-GNDM® technology

日時: 2022年5月18日 10:30AM

セッション名: Musculo-skeletal Diseases

ポスター発表:

演題名: Robust suppression of Tau by CRISPR-GNDM® system for treatment of Tauopathies

日時: 2022年5月16日 5:30 PM

セッション名及びポスター番号: Neurologic Diseases I /M-141

演題名: Utilizing CRISPR-GNDM® mediated gene activation of the extra-large gene titin for the treatment of dilated cardiomyopathy and other titinopathies

日時: 2022年5月17日 5:30 PM

セッション名及びポスター番号: Cardiovascular and Pulmonary Diseases/Tu-124

演題名: Blocking SNHG14/UBE3A-ATS lncRNA Transcription with Dead Cas9 (CRISPR- GNDM®) Can Un-Silence Paternal UBE3A in an Angelman Syndrome Mouse Model

日時: 2022年5月18日 5:30 PM

セッション名及びポスター番号: Neurologic Diseases III/W-153

演題名: Evaluation of Cas9 mediated immune response effect on long term transgene expression in WT mice and NHPs without immune suppression

日時: 2022年5月18日 5:30 PM

セッション名及びポスター番号: Immunological Aspect of Gene Therapy and Vaccine II /W-252

以上