



2023年5月22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ご報告

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 (開催場所：米国ロサンゼルス) において、2023年5月19日 (現地時間) に当社の LAMA2-CMD 治療薬、MDL-101 の開発データに関する報告を行いました。主催者発表で100を超える応募の中から選ばれた14演題という狭き門の中で Late-breaking abstract\* として採択され、大変注目を集める中で発表を行いました。

### <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

発表内容の要旨は、以下のとおりです。

### 発表内容の要旨

- CRISPR-GNDM<sup>®</sup> 技術に基づいて作成された候補ベクターは、LAMA2-CMDモデルマウスにおいて単回投与で著効した。
- 筋肉特異的なキャプシド技術を用いた当該ベクターをサルにおいて評価したところ、筋組織における広範なGNDM分子の発現が確認された。
- 本結果は、広範な筋組織におけるLAMA1の遺伝子の上昇を含むGNDMのターゲットエンゲージメントを示しており、サルを含む大動物におけるエピゲノム編集における最初の成功例である。
- 当結果はさらにサルにおける外来タンパクであるCas9を発現しても、安全で認容性があることを示している。
- これらの結果は、CRISPR-GNDM<sup>®</sup> 技術を用いたエピゲノム編集は次世代の遺伝子技術プラットフォームが神経筋疾患を含む多くの遺伝子疾患に対して有効であることを示している。

MODALIS

また以下リンクより、学会発表で用いられた当社発表資料をご覧ください。

<https://www.dropbox.com/s/i4fvz5s6s4ecs4o/2023%20ASGCT%20Modalis.pdf?dl=0>

なお、学会に参加登録をしている方は、学会 HP より発表動画のアーカイブをご覧ください。

\* 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

以上