



2024年4月15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4回次世代遺伝子治療ベクターサミット[※]における MDL-101の前臨床データなど発表に関するお知らせ

遺伝性の筋ジストロフィー治療に向けた開発をサポートする以下の内容を発表予定

- 先天性筋ジストロフィー1a型 (MDC1A、別名 LAMA2-CMD) に対する差別化されたプレジジョン・メディスン (精密医療) である MDL-101 のプロダクトコンセプトおよびその合理性
- マウス及びサルにおいて有効性を裏付ける前臨床試験データ
- サルにおける筋肉特異的 AAV ベクターの高い筋肉組織へのバイオディストリビューション (体内分布) データと安全性データ
- 臨床試験開始に向けた筋肉特異的 AAV ベクターの製造開発検討データ

当社は、第4回次世代遺伝子治療ベクターサミット (開催時期:2024年6月12日~14日、開催場所:米国ボストン) において、口頭発表に採択され、以下の研究成果を当社最高科学責任者(CSO) の山形哲也が発表することになりましたので、お知らせします。

次世代遺伝子治療ベクターサミットでのモダリスの発表は、下記要旨で、前臨床データと筋肉特異的 AAV ベクターに関する内容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) およびサルにおいて、単一の筋肉特異的 AAV ベクターに導入された 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。

次世代遺伝子治療ベクターサミットでは、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 に対して、当社の CRISPR-GNDM[®]技術を活用し、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 である山形哲也博士は、「当社独自の、また世界初の CRISPR によるエピゲノム編集技術である 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、筋特異的キャプシド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 申請に向けて開発を進めています。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と筋肉特異的 AAV ベクターの製造開発検討データを共有し、臨床開発に向けた筋肉特異的 AAV ベクターの開発と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。

当社の発表一覧は以下の通りです。

第4回次世代遺伝子治療ベクターサミット (URL;<https://next-gen-genetherapy-vectors.com/whats-on/speakers>)

口頭報告:

演題名: Epigenetic Editing with CRISPR-GNDM[®]: MDL-101 is a Novel Muscle-Tropic AAV Vectors for the Treatment of LAMA2-CMD

日時: 2024年6月14日 11:15AM (米国東海岸時間)

セッション名: Beyond AAV: HIGHLIGHTING BOUNDARY-PUSHING VECTOR PLATFORMS

注) 第4回遺伝子治療ベクターサミットについて

第一世代の遺伝子治療開発で明らかとなったベクターの安全性、薬効そして選択性等の課題解決を目的に、次世代遺伝子治療のベクター開発について本業界のリーダー約100名が参加し、研究主導型の議論が予定されています。参加者は研究開発、プラットフォーム技術開発、キャプシド改変、ペイロード最適化、事業開発、そして社外イノベーションを担当する本業界のリーダーです。第4回学会は次世代遺伝子治療におけるベクター開発の選択性の向上、新規細胞タイプへのターゲティング、ベクターの搭載能力向上、そして、より薬効と安全性の高い次世代遺伝子治療の開発についての議論が予定されています。

以上