

2021年12月期 第1四半期決算説明資料

The switch



is the Key

株式会社モダリス
2021年5月6日

MODALIS

本資料の取扱について

- 本資料は、関連情報のご案内のみを目的として当社が作成したものであり、日本国、米国またはそれ以外の一切の法域における有価証券の取得勧誘または売付け勧誘等を構成するものではありません。米国、日本国またはそれ以外の一切の法域において、適用法令に基づく登録もしくは届出またはこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集または販売を行うことはできません。
- 本資料に記載されている情報は、現時点の経済、規制、市場等の状況を前提としていますが、その真実性、正確性または完全性について、当社は何ら表明または保証するものではありません。本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。本資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、何人も、他の目的で公開または利用することはできません。本資料に記載された将来の業績に関する記述は、将来情報です。将来情報には、「信じる」、「予期する」、「計画する」、「戦略をもつ」、「期待する」、「予想する」、「予測する」または「可能性がある」というような表現及び将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他類似した表現を含みます（これらに限定されるものではありません）。将来情報は、現在入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来情報は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績は将来情報に明示または黙示されたものとは大幅に異なる場合があります。したがって、将来情報に全面的に依拠することのないようご注意ください。新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更または訂正する一切の義務を当社は負いません。
- 本資料の作成にあたり、当社は当社が入手可能なあらゆる情報の真実性、正確性や完全性に依拠し、前提としています。当社にかかる情報の真実性、正確性あるいは完全性について独自の検証を行っておらず、その真実性、正確性あるいは完全性について、当社は何ら表明及び保証するものではありません。
- 本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。

目次

1. 決算状況

2. 当期のトピック

3. 成長戦略

4. 制度ロックアップ違反

5. Q&A

1. 決算状況

2021年12月期 第1四半期 年度業績

(百万円)

	2020年12月期 第1四半期 (A)	2021年12月期 第1四半期 (B)	差異 (A) - (B)
事業収益	13	0	△13
事業費用	129	253	124
研究開発費	81	184	103
販管費	47	69	22
営業利益	△116	△252	△136
経常利益	△116	△245	△129
当期純利益	△118	201	319

事業費用

- ・ 事業の進捗に伴い研究開発費前期比増加（主に、人件費、試薬等の研究材料費）

特別利益

- ・ 受取賠償金 485百万円の受領（詳細は、4.制度ロックアップ違反 参照）

2021年12月期末 第1四半期 パイプライン

コード	疾患名/ 疾患領域*1	パートナー	ストラクチャー	初期開発/前臨床		臨床試験		
				探索/研究/前臨床	IND	第I相	第II相	第III相
MDL-201	筋肉	アステラス製薬	ライセンス	→		協業モデル		
MDL-202	筋肉	アステラス製薬	ライセンス	→				
MDL-204	中枢神経	アステラス製薬	共同研究開発	→				
MDL-205	中枢神経	エーザイ	共同研究開発	→				
MDL-206	中枢神経	アステラス製薬	共同研究開発	→				
MDL-101	MDC1A*2	自社	自社	→		自社モデル		
MDL-102	中枢神経	自社	自社	→				
MDL-104	タウオパチー*3	自社	自社	→				

パイプラインの拡張

*1: 具体的な適応疾患名は、出願した特許が公開されるまでは競争上の理由から非開示とする戦略を採用しており、また協業モデルパイプラインは契約上で原則非開示とされているため、記載していません

*2: MDC1A=先天性筋ジストロフィー1A型

*3: タウタンパク質による神経原線維変化。アルツハイマー病との相関が示唆されている。

MDL-101：20週までのサルの試験を完了し、データ分析の結果CRISPR-GNDM分子をこの期間に渡って発現させても免疫反応を含めて大きな安全性上の問題を起こさないことを確認しました。本結果をもとにパートナー候補との交渉を進めるとともに、早期の臨床試験入りに向けて必要な開発を引き続き行って参ります。

その他のパイプラインについても、研究及び共同研究を継続中

2021年12月期末 第1四半期 財務状況

(百万円)

	2020年12月期末 (A)	2021年12月期 第1四半期 (B)	差異 (B) - (A)
流動資産	5,448	5,666	218
現金及び預金	5,421	5,649	228
固定資産	828	867	39
特許実施権	767	751	△16
資産合計	6,277	6,533	256
流動負債	58	88	30
固定負債	11	14	3
負債合計	70	103	33
純資産合計	6,206	6,430	223
負債純資産合計	6,277	6,533	256
自己資本比率	98.9%	98.4%	

- 安定した財務基盤、高い自己資本比率
- エディタス社よりCRISPR/Cas9基本特許のライセンスを計上

2. 当期のトピック

MDC1A(先天性筋ジストロフィー1A型)

LAMA2 遺伝子の変異によって生じる重篤な筋ジストロフィーの一種

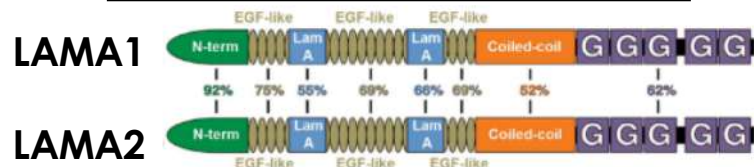
- 発症頻度: **1 / 30,000***
- 遺伝形式: **常染色体劣性**
- 発症時期: 誕生時あるいは**生後数ヶ月以内**に明らか
- 臨床症状:
 - 重篤な筋力低下
 - 筋緊張低下症
 - 弱い自発的運動
 - 関節変形
 - 心不全、硬直
- 平均余命
 - 重篤な臨床的問題により**思春期を越えられない**
- 遺伝的原因: **LAMA2** 遺伝子の変異

LAMA2の変異に対して姉妹遺伝子のLAMA1をオンにすることで 筋肉の機能回復を行う

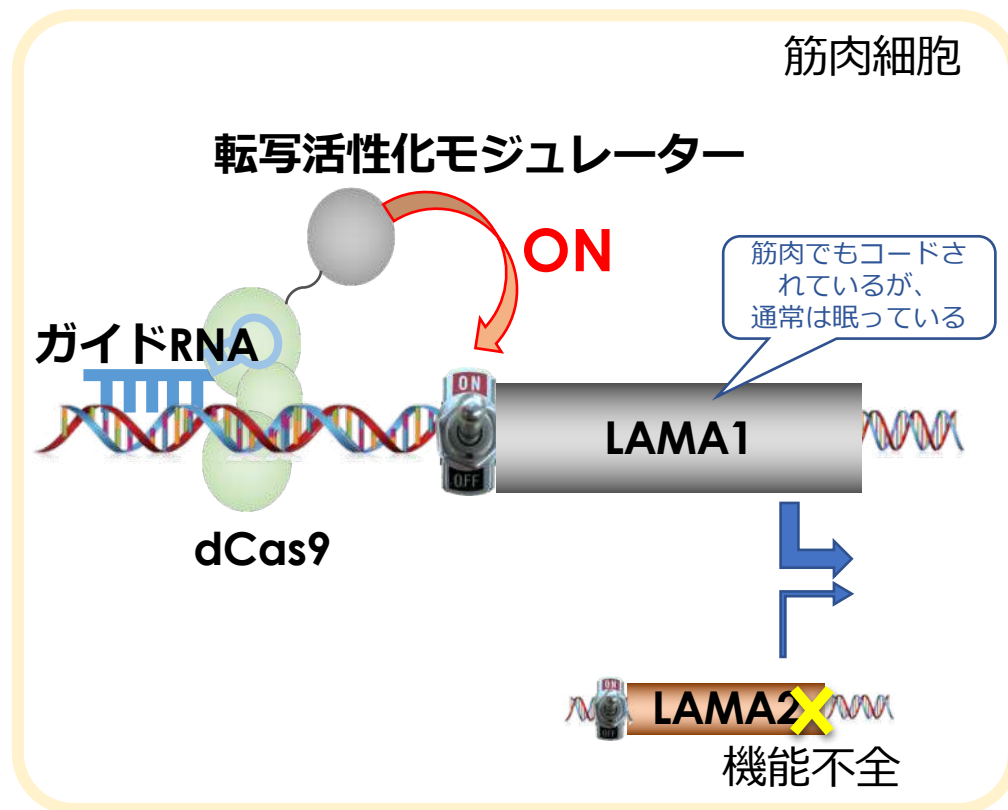
LAMA1とLAMA2の組織別発現分布



LAMA1とLAMA2タンパクの構造

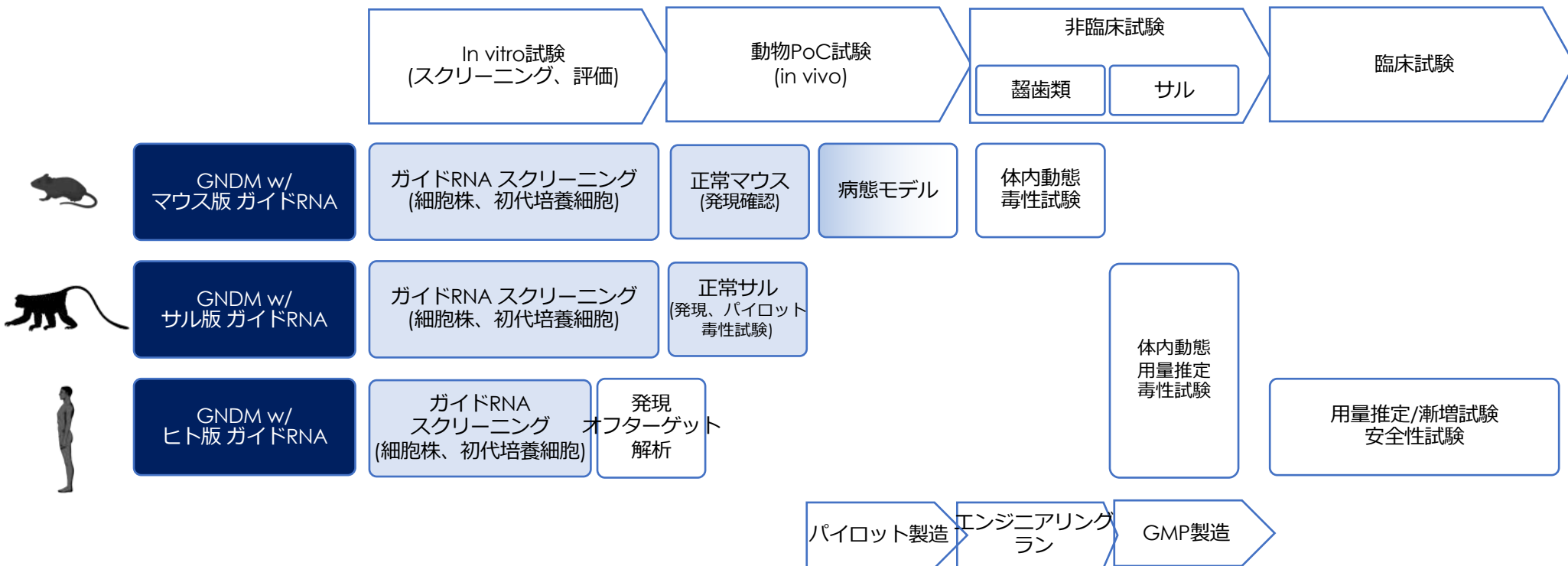


CRISPR-GNDM®での治療コンセプト



サルパイロット試験の最終的な結論は安全性上の大きな懸念なし INDに向けて引き続き必要な試験及び製造を継続

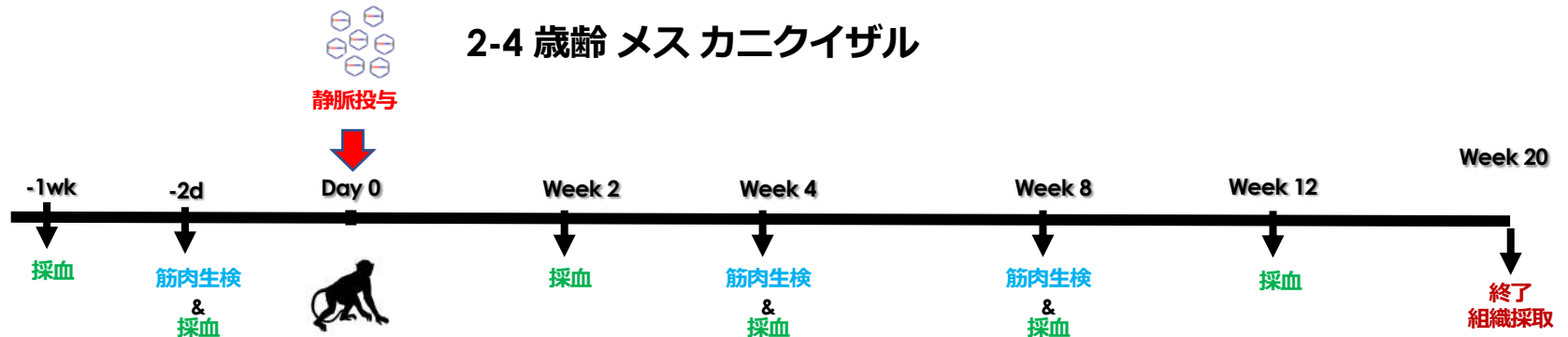
CRISPR-GNDM®の臨床までのパス



20週のサルパイロット試験を完了

MDL-101 サルパイロット試験スケジュール

コホート	サンプル	用量 (vg/Kg)	N=
非投与	Mock	0	3
低用量	AAV – サルGNDM-LAMA1	1.1×10^{13}	2
高用量	AAV – サルGNDM-LAMA1	1.1×10^{14}	3



In vivo試験のまとめ

• マウス

- LAMA-1 の誘導が骨格筋及び心筋で確認
 - CRISPR-GNDM[®]mRNAの発現上昇
 - 正常LAMA-2の50%程度までのLAMA-1 mRNAの発現上昇
 - GNDM/Cas9 タンパクの免疫染色での確認
 - LAMA-1 タンパクの広範な筋肉細胞における発現(免疫染色)
- MDC1 α 疾患モデルマウス試験による薬効確認実施中
 - dyW及びdy2J病態モデルの機能評価においてGNDM投与による改善を確認

• サル

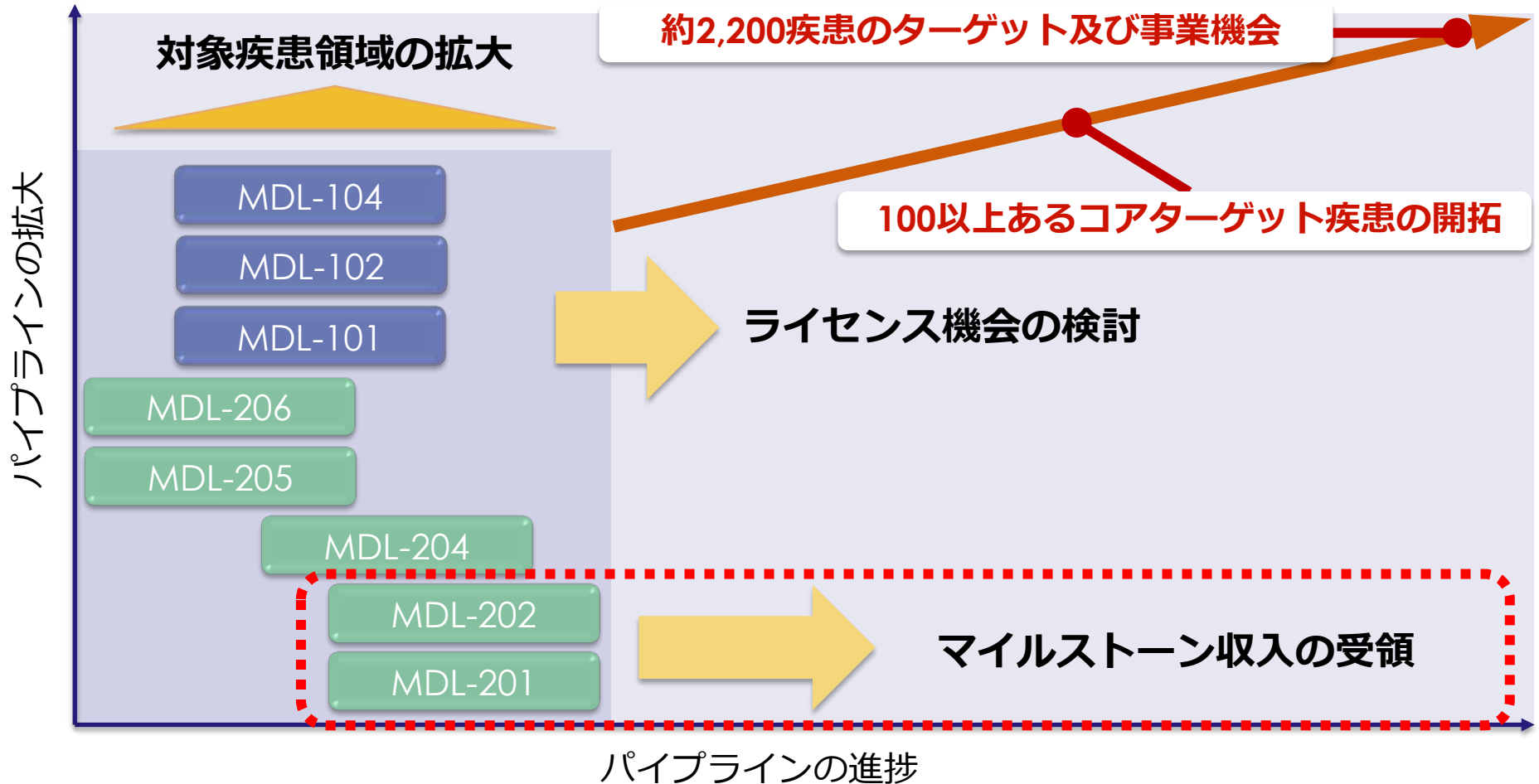
- サル版gRNA搭載のAAV- サル MDL-101投与試験
 - ウィルスベクターの投与により想定通りのCas9に対する弱い免疫反応を確認
 - 筋肉組織における免疫細胞の浸潤や組織破壊などは確認されず
 - 筋肉組織における20週まで持続したGNDM発現を確認

3. 成長戦略

成長戦略

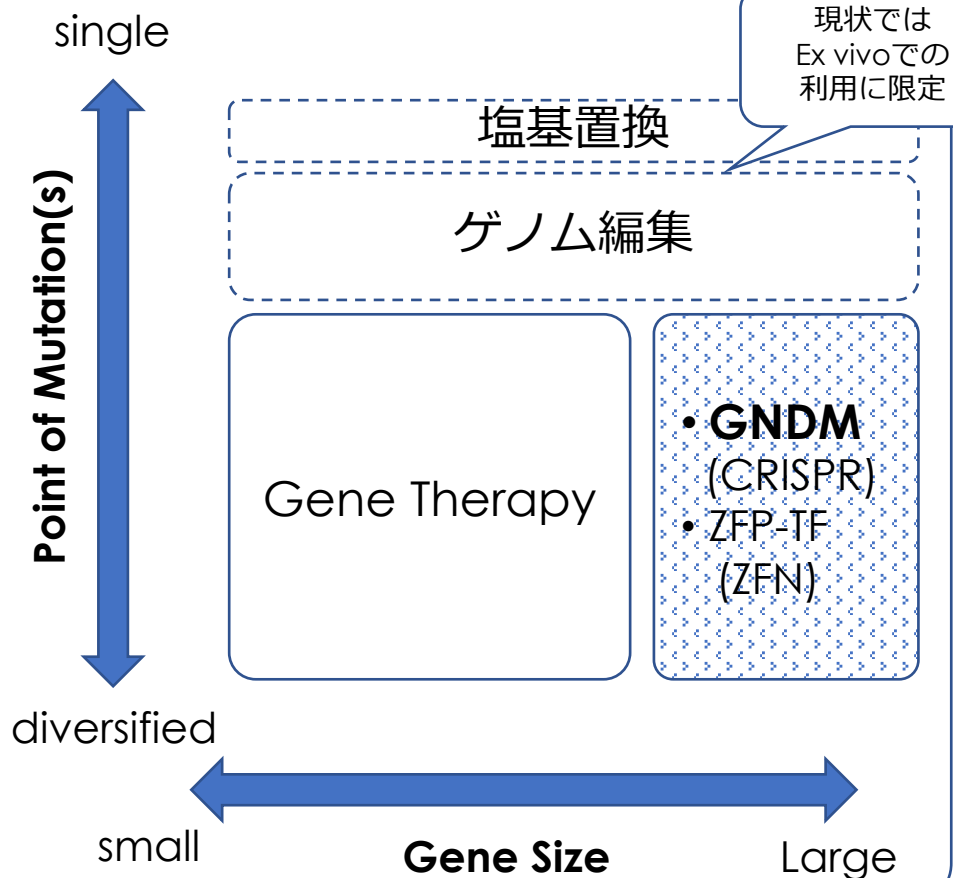
パイプラインの拡大と進捗で成長余地は豊富

当社パイプラインの今後の展開

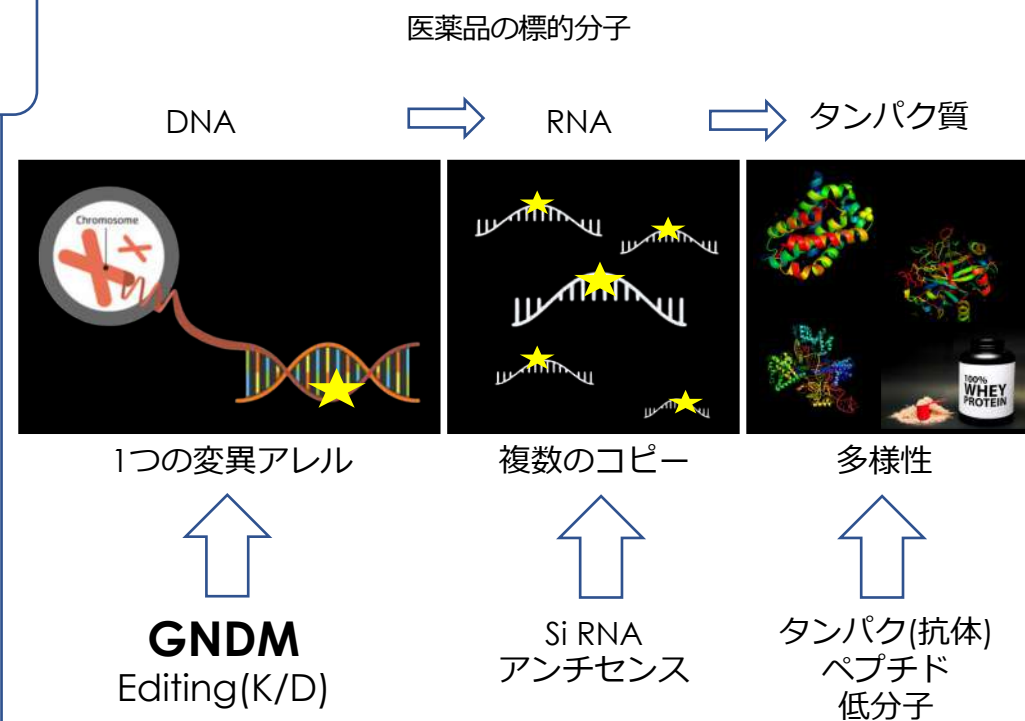


GNDMは機能喪失、異常機能獲得変異に対して有効なアプローチ

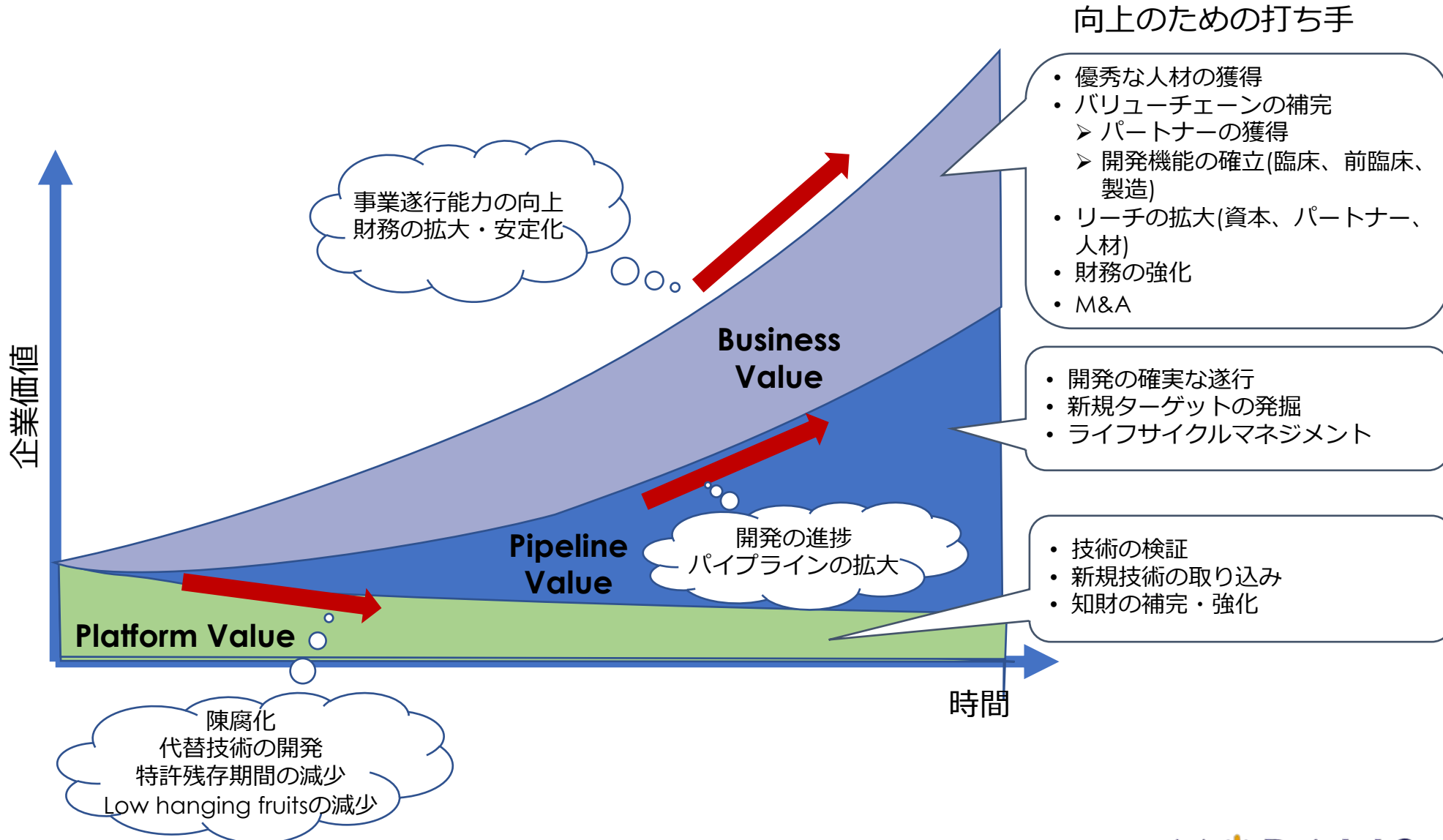
正常機能の喪失でおこる疾患に対して



異常機能の獲得で起こる疾患に対して

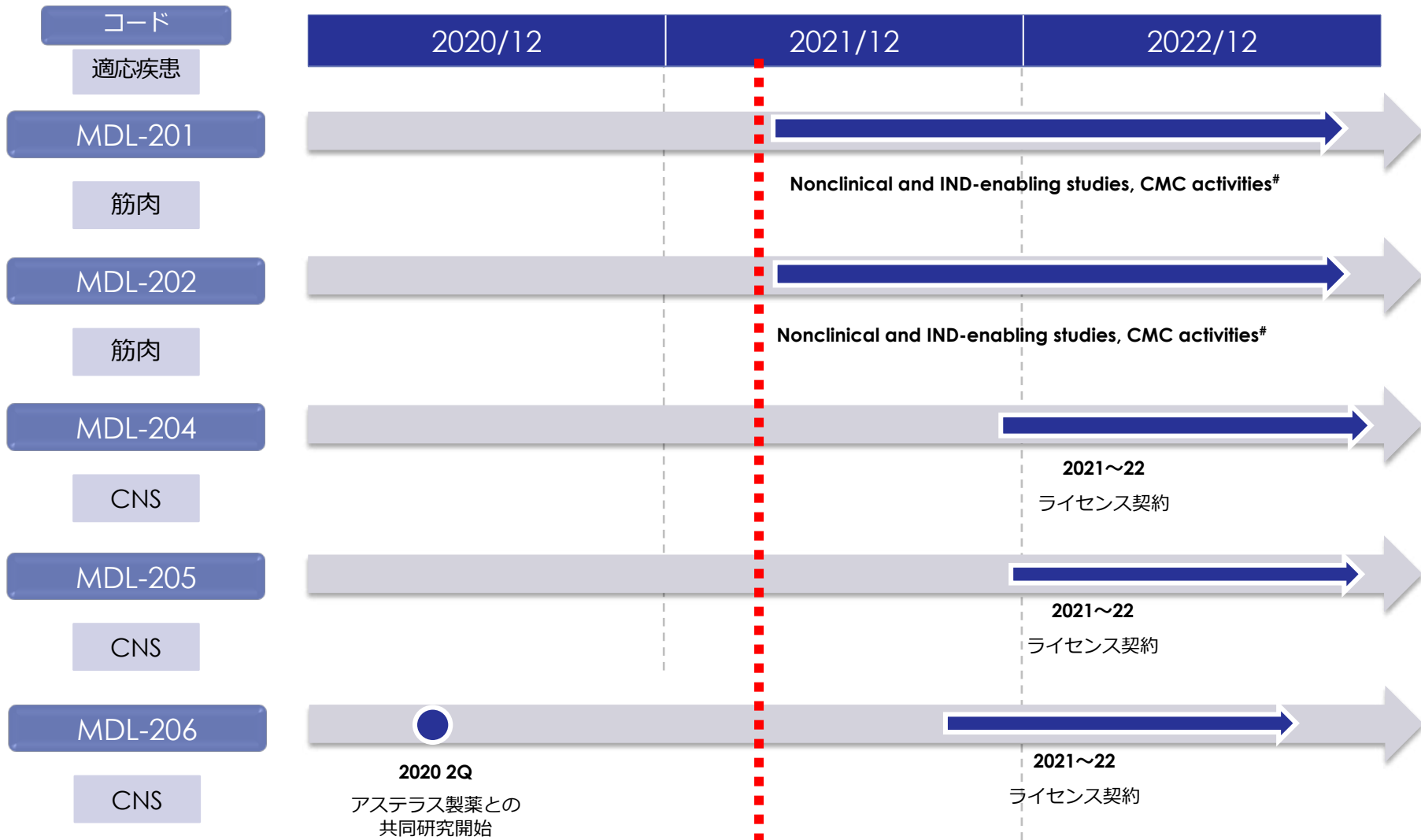


Modalisの企業価値の構成と拡大のための施策



協業モデルパイプライン

直近の達成イベントと予定されるマイルストーンイベント*

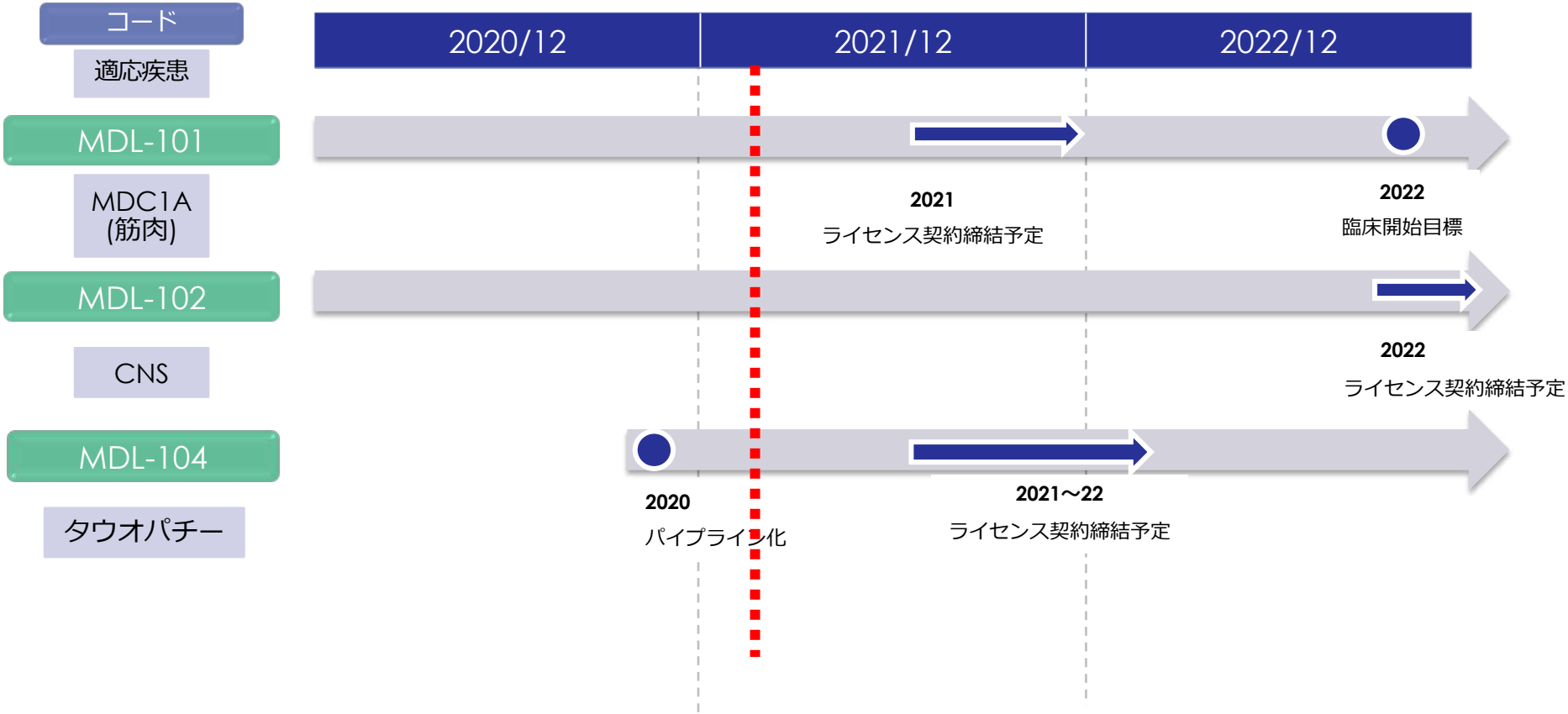


*予定されるマイルストーンイベントは将来情報であり、状況に応じて変更される可能性があります

#パートナーの要望により前臨床段階の進捗に関する社外開示はしない方針となりました。

自社モデルパイプライン

予定されるマイルストーンイベント*



*予定されるマイルストーンイベントは将来情報であり、状況に応じて変更される可能性があります

4. 制度ロックアップ違反

制度ロックアップ違反

- 概要

当社が2020年12月期の決算作業として株主名簿の確認を行ったところ、当社株主であった片山晃氏（以下、片山氏といいます。）が、株式会社東京証券取引所（以下、東証といいます。）の定める有価証券上場規程及び有価証券上場規程施行規則の確約（※制度ロックアップ）に違反して、当社に事前通知をしないままに譲渡制限期間に所有株式の全部を市場で売却していたことが判明致しました。

そのため、当社は東証及び片山氏と事実関係の確認等を行い、有価証券上場規程及び有価証券上場規程施行規則に基づき、東証に対して「第三者割当により割り当てられた株式の譲渡に関する報告書」を提出致しました。

※制度ロックアップとは、上場申請直前事業年度以降に行った第三者割当等により株式の割当てを受けた者は、株式上場日（2020年8月3日）以後6ヶ月を経過する日までの間は、当社株式を第三者に譲渡しない旨、また当社株式を第三者に譲渡する場合は事前に当社に書面にて通知をする必要がある旨等の確約のこと。

制度ロックアップ違反

- 対応策

片山氏が有価証券上場規程及び有価証券上場規程施行規則に基づく確約書に違反して制度ロックアップ期間中に当社株式を売却したことに関する治療方法として、金484百万円を当社に支払うという提案を受けました。

当該違反は、制度ロックアップを遵守されてきた他の株主に対しては公平性を損なうものであり、また制度ロックアップを前提に投資をされている当社投資家に対しても前提条件と異なる事態が発生しており、当社株主のみならず株式市場の公平性に影響を及ぼす重大な事態である事項と認識しております。そのため、当該支払いによって市場や市場に参加する投資家に対する背信行為が全て解消するものではないと考えます。

しかしながら、①当社が現時点で直ちに対応できる処置が限られていること、②片山氏の主張する錯誤であった場合の賠償として支払い金額の算定についても一定の合理性があること、③株式市場の公平性を一定程度治療する効果が期待できることから、各関係者と協議の上、当社及び当社株主に対する治療としては受け入れることとしました。

制度ロックアップ違反

- 当社の今後の方針

当社は事件が発生してから、すぐに主幹事証券会社、東証及び顧問弁護士とコミュニケーションをとり、これまでも然るべき手段が無いか、詳細に検討をしてきており、今後も引き続き検討を行なっていきます。また、当社は当該受領金によって、本件が全面解決したとは考えておらず、今後もあらゆる可能性について検討して、然るべき手段を取り続けていく方針であります。

詳細な内容は下記プレスリリースをご参照ください

- 2021/3/24：「第三者割当により割り当てられた株式の譲渡に関する報告書」の提出に関するお知らせ
- 2021/3/29：大株主による制度ロックアップ違反の追加情報について
- 2021/4/6：第5回定時株主総会 質疑応答要旨 ご質問/ご回答6～8

5. Q & A

(本開示資料及びお問い合わせに関して)

Q & A ①

Q)

MDL-101の進捗について、20週のサルパイロット試験が終了したとのことですが、ライセンスアウトの契約交渉の進捗はどうなっていますか？

A)

現在、サルの試験は20週まで完了し、データ解析もほぼ終了しました。引き続き、MDL-101のライセンスアウトの契約締結に向けて、本試験の十分なデータと詳細な解析結果を交渉材料に加えて、パートナー候補と交渉を行ってまいります。

なお、ライセンスアウトのタイミングは、現時点で2021年の後半になると考えています。

Q & A ②

Q)

サル試験の結果など研究開発の状況について、決算発表以外の機会に発表・IRが行われることはありますか？

A)

当社は現在、研究開発ステージで事業を行っており、臨床入り前の個別の研究状況に関するIRの機会は限られています。今後のパイプラインの進捗及び拡張によってIRの機会は増えていくと考えています。

なお、サル試験など、個別の研究状況については、公表することにより競合相手を利するなど競争上の観点から好ましくなく、長期的には株主価値の毀損に繋がることになるので、慎重に判断しています。更にライセンス交渉中である場合、前提として交渉相手にのみ研究状況の詳細を伝えることができますので、公表には自ずから制約があります。

また個別の研究状況の開示は、時として投資家に過度の期待を持たせて、株価に過剰に影響を及ぼすことが懸念され、当社としては投資家の皆様へ重要な影響を及ぼすと判断したものを積極的に開示したいと考えています。

Q & A ③

Q)

MDL-201及び202の開発ステータスについては非開示の方針となったということですが、開発の見通しが後退したのでしょうか？

A)

いいえ。

MDL-201及び202はパートナーのアステラス製薬にライセンスされ、アステラス製薬が臨床試験に向けて引き続き開発を続けております。

現時点で治験入りは2022年以降となる見込みとこのことで、今後の大規模の非臨床・臨床試験の準備に時間を要するためと理解しております。

Q & A ④

Q)

制度ロックアップ違反について、片山氏から484百万円の支払いを受け入れたことで、全面解決したということでしょうか？

A)

当社は、2021年3月29日のプレスリリースにあるように、当社が受けた甚大な影響に対して片山氏からの484百万円の支払いの申し出を受け入れましたが、この金銭の受領をもって本件が全面解決したとは考えておりません。

当社は事件が発生してから、すぐに主幹事証券会社、東京証券取引所及び顧問弁護士とコミュニケーションをとり、これまでも然るべき手段が無いが、詳細に検討をしてきており、今後もあらゆる可能性について検討して、然るべき手段を取り続けていく方針であります。

Q & A ⑤

Q)

新型コロナウイルス感染症（COVID-19）やその他の理由での事業の遅延はありますか？

A)

当社グループの事業の進捗について、新型コロナウイルス感染症による大きな影響は発生しておらず、またその他の理由についても開示情報のほかに遅延や計画変更などといった事象は生じていません。

なお、新型コロナウイルス感染症に対して、当社グループは各種の感染予防策と対策（原則在宅勤務の実施、研究施設での必要な作業の最小限化、不要不急の外出や直接対面でのミーティングの禁止などの安全対策、Web 会議等のツール活用促進、PCR検査の実施など）を講じ、特段の問題なく遂行できる状態を維持しています。また、取引先の動向は当社のコントロール下にはないものの、現時点まで当社グループの事業へ重要な影響を及ぼす事象は認識していません。

今後、開示すべき事象・事業計画の変更が発生した場合には、速やかにお知らせします。