

# MDL-204の共同研究開発契約期間の満了 に関するQ&A

The switch



is the Key

**MODALIS**

株式会社モダリス  
2022年1月7日

# 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。本資料およ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」というような表現および将来の事業活動、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。

## アステラス社との今後の関係はどうなりますか？

A) アステラス社との間ではこれまでに合計5本の共同研究を行い、うち2本がライセンス契約に至っております。

MDL-204の共同研究終了に伴い、現在進行中の共同研究は存在しないこととなります。しかしながらMDL-201および202における協力関係、他の協業機会の模索などを通じて引き続き良好な関係を継続維持しております。

また、ライセンスを行っている前臨床段階の MDL-201, 202 についてはアステラス社において研究が続けられていると認識しております。

2021年8月に自社モデルパイプラインに変更したMDL-206と今回のMDL-204との違いを教えてください。

A) いずれのパイプラインも同じCRISPR-GNDM<sup>®</sup>技術によって遺伝子治療薬の創製を試みるアプローチではありますが、他のプログラムも含めてそれぞれにターゲット遺伝子に固有の技術的チャレンジ、患者数規模、あるいは他のモダリティとの競合状況が存在しております。

MDL-206は、ターゲットとするAngelman Syndromeは当該技術との親和性、他のモダリティによるアプローチの難しさといった理由に加えて、現存するデータから想定される有効性の判断で自社でプログラムを継続する判断をいたしました。MDL-204においては総合的な判断において十分な優位性、合理性が認められないとしたため、中止判断をするに至りました。

## 今後パイプラインが増減する見通しはありますか？

A) 現在協業の可能性を模索しているものと、自社でインキュベーション中のものを含めて複数の新規パイプライン候補を有しており、これらは適切な段階でパイプラインとして昇格させていくことを計画しています。

また既存のパイプラインの中でも、MDL-204のように研究開発を継続させる可能性が認められなくなったと考えるものについては速やかに中止の判断を行って参ります。

このような適切な改廃の判断をパイプライン毎に行うことは、当社を含めたいずれの製薬会社やバイオテック企業でも行われているポートフォリオに対する通常の判断であり、適切な新陳代謝を行うことでパイプラインの規模と質の適正化を行うことは合理的なことと考えています。

また、特に研究段階など早期に判断をすることは、コストのかかる開発段階の成功確率を高める上で不可欠であると考えています。