



2022年6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)

「ユートロフィン遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療法」  
の米国における特許査定に関するお知らせ

当社とアステラス製薬株式会社が共同で出願していました「ユートロフィン遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療法」について、下記の通り米国で特許査定の通知を受領しましたので、お知らせいたします。

名称 : METHOD FOR TREATING MUSCULAR DYSTROPHY  
BY TARGETING UTROPHIN GENE  
(ユートロフィン遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療法)  
出願国 : 米国  
出願番号 : No 17/320,643  
出願人 : 株式会社モダリス、アステラス製薬株式会社

本特許についてはすでに日本で特許登録されていますが、研究開発の拠点である米国でも今回特許査定の通知を受領しました。これにより、本特許に係る製品が開発された際には当該製品が米国において特許により保護を受けることになります。また、他の国においても当該特許の成立に向けて手続きを進めております。

本特許は、CRISPR-GNDM<sup>®</sup> を使って DMD<sup>\*</sup> 治療を行う治療薬についての特許になります。DMD の原因遺伝子で、患者様においては変異のある Dystrophin 遺伝子に代わって幼若型の Utrophin 遺伝子を発現上昇させることによって Dystrophin の機能を補完して治療を行います。Dystrophin 遺伝子の cDNA は 14kbp と通常の AAV ベクターには搭載できない大型遺伝子で、CRISPR-GNDM<sup>®</sup> の利点を生かした対象疾患であると考えています。なお、今回査定通知を受領した特許が、どのコラボレーションプログラムに該当するかについては開示しておりません。

本件による、2022年12月期の当社連結業績への影響は、軽微であると見込んでおります。

\* DMD : Duchenne 型筋ジストロフィー症。Dystrophin 遺伝子の変異に起因して筋力低下、運動能力の低下などを伴う筋ジストロフィーの代表的疾患。

以 上