



2022年9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)

### MDL-101 の改良型への移行に関するお知らせ

当社は、本日開催の取締役会において、MDL-101 の改良型への移行について下記のように決定いたしましたので、お知らせいたします。

#### 記

CMD1A (先天性筋ジストロフィー1A型) を対象疾患として開発中の MDL-101 を改良型へ移行する決定を行いました。それに伴って臨床試験入りの見通しが約1年延期する見通しとなります。また、同時にタウオパチーを対象疾患として開発中の MDL-104 の優先度を上げ、MDL-101 と並行して開発を行う方針を決定しました。

当社の治療薬の投与方法は、当社独自の CRISPR-GNDM<sup>®</sup>分子をアデノ随伴ウイルス (AAV) ベクターに搭載して体内の目的の細胞に送り込むことを想定していますが、当該決定においては送達方法の道具である AAV を改良型に移行するものになります。

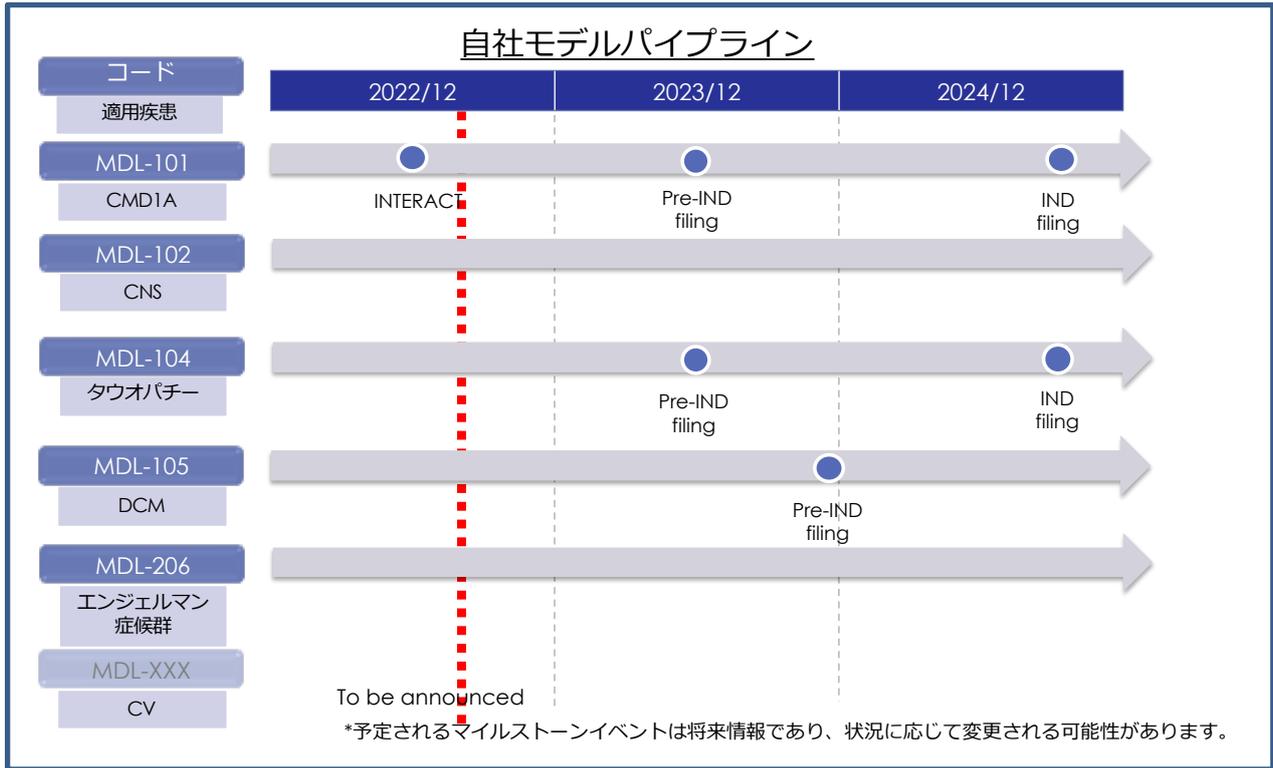
主に MDL-101 のような筋肉疾患を対象として AAV を用いた全身投与による遺伝子治療薬は、近年の各社による臨床試験において有望な結果を見せていますが、AAV の大量投与に伴う安全性上の懸念が高まっています。一方で、技術革新により改良型の AAV が非常に優れたターゲット組織特異性と送達効率を見せていることから、改良型 AAV への切り替えが有効性、安全性、コスト、倫理を含むいずれの観点からも今後の創薬業界に対する強い要請となると当社は考えています。そのため、遺伝子治療分野における近年の技術革新のスピードは速く、こうした動きに速やかに適応していくことが当社パイプラインにとっても必須であると考えられることにより、改良型の AAV を採用して MDL-101 の改良を行う決定を行いました。これにより、開発のスケジュールは約1年延期することになりますが、プロダクトの優位性を考えればトータルではより大きな価値をもたらすと考えています。

一方で ICM (intra cisterna magna：経後小脳延髄槽) 投与を計画している MDL-104 は、BBB (blood-brain barrier：血液脳関門) の脳側で局所投与を行うため、大量投与及び組織特異性の問題が回避されます。よって、静脈ルートなどによる全身投与で懸念となる問題はなく、既存の開発体での取り組みが維持できると考えています。こうしたことから、MDL-104 は開発スケジュールの延期を織り込んだ MDL-101 と臨床入りのスケジュールが拮抗すると考えられるため、優先度を上げて MDL-101 と並行して開発を行うことといたします。

結果、MDL-101 及び MDL-104 はいずれも 2023 年央の Pre-IND 申請、2024 年の IND 申請の見通しとなります。また、従来通り開発と並行してパートナーリングの交渉も継続してまいります。

本件に関して、現時点で 2022 年 12 月期業績に対し確定した影響はありません。今後開示すべき事項が発生した場合には、速やかにお知らせいたします。

【移行後のスケジュール】



以 上