



2022年12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 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)

### 個人投資家向け会社説明会において回答できなかった質問のご回答について

当社は、2022年12月15日（木）に、野村インベスター・リレーションズ株式会社にて、個人投資家を対象としたオンライン会社説明会を開催いたしました。

当該会社説明会では、多くの質問をいただき、誠にありがとうございました。説明会当日に、お時間の都合上ご回答することができなかった質問について追加情報としてご回答いたします。

なお、質問を整理する観点から、趣旨の似たいくつかの質問をまとめる、複数まとめて頂いた質問を分ける、または抜粋して回答している場合がございます。また、質問の選定は当社で行っております。予めご了承ください。

詳細は、次ページ以降をご参照ください。

引き続きご支援の程よろしくお願い申し上げます。

以 上

## 質問とご回答①

質問	回答
1 ライセンスアウト済みのパイプラインも改良型カプシドに変更されるのでしょうか？	ライセンスアウト済みのパイプラインは、当社の手を離れてライセンス先企業（製薬会社）が開発の主体者となっており、当社が開発の内容や進捗を回答できる立場にないことから、具体的なお回答できないことをご了承ください。
2 疾患のロングテールを狙えるのは魅力的ですが、1つ1つの疾患の治療薬にかかる期間と費用が大きくなってしまいませんか？	開発費用と開発期間が膨大にかかる従来型の創薬では効率が悪いのでこれまで敬遠されてきた希少疾患領域について、当社はCRISPR-GNDM®技術の特徴を生かして、期間や費用の最適化・効率化を図り、治療薬の開発に取り組んでいます。 特徴としては下記になります。 <ul style="list-style-type: none"><li>・ 移転可能性</li><li>・ 成功確率の優位性</li></ul> 詳細は、当社HPをご参照ください。 <a href="https://www.modalistx.com/jp/science/crispr-gndm/">https://www.modalistx.com/jp/science/crispr-gndm/</a>
3 パイプラインの臨床申請は全て米国（FDA）に申請する予定ですか？	当社の研究開発は希少疾患を対象にしているため、特に初期の臨床試験においては適切な患者様のリクルートを確保するためにも単一国として人口の多い米国での臨床試験を想定しています。 米国内だけで実績数が足りないといった場合や、疾患に国別偏差がある場合には、日本やヨーロッパなど他の地域でも臨床試験を行う可能性があると考えています。

## 質問とご回答②

質問	回答
<p>4 森田社長の発言にある製薬会社とのディスカッションとは、どの程度の強度のものでしょうか？ 交渉先はどのような先ですか？</p>	<p>事業競争戦略から詳細をご回答することはできませんが、秘密保持契約下で一般的に考えられるビジネスベースでの交渉を行っていることを指します。</p> <p>また、交渉先の企業は相手先との秘密保持の観点から詳細または概要等をご回答することはできませんが、交渉先は国内外のメガファーマや大手バイオテック企業が主になります。</p>
<p>5 遺伝子のスイッチをON/OFFするアプローチは御社だけの技術ですか？</p>	<p>CRISPRを用いたエピジェネティクス編集（遺伝子のスイッチをON/OFF）にする技術は、当社がいち早く参入し、7年かけて研究開発に取り組んできております。近年は新規参入が数社ありますが、このアプローチ方法への興味の高まりを反映されたものであり、ポジティブなことであると考えています。</p> <p>一方で、CRISPRの代わりにZFNなどを用いて同様の効果を実現しようとして開発を行っている企業もあります。</p> <p>このような状況で、当社はこの分野の草分けとして7年間蓄積してきたノウハウを強みにするとともに、知的財産をプロテクトし、この分野のトップリーダーとして研究開発を進めています。</p> <p>詳細は、本説明会動画「CRISPRおよびエピジェネティクス編集の領域は、新規設立を含めて俄に賑やかになりつつあり、アプローチへの興味の高さを反映していると考え」(22:34~)を参照ください。</p>
<p>6 現在実施している第三者割当新株予約権を用いて新たな資金が必要となった経緯を教えてください。 株式が希薄化することをどのように考えていますか？</p>	<p>2022年11月18日に開示いたしました『第三者割当による行使価額修正条項付第9回新株予約権の概要』p.3「ファイナンスの目的と資金使途」において詳細を記載しておりますので、こちらをご参照ください。</p> <p><a href="https://contents.xi-storage.jp/xcontents/AS04819/cdc3a593/7a54/46bc/98a2/ce978f5cfb66/20221118121702430s.pdf">https://contents.xi-storage.jp/xcontents/AS04819/cdc3a593/7a54/46bc/98a2/ce978f5cfb66/20221118121702430s.pdf</a></p> <p>また、調達する資金を使って改良型AAVへ移行することは、プロダクトの優位性及びトータルでより大きな価値をもたらすため、この事業成長・企業価値向上の実現によって株主の皆様へ還元してまいりたいと考えております。</p>

## 質問とご回答③

質問	回答
<p>7 CRISPR-Cas9の特許料は高いと言われているためCRISPR-Cas3を利用することも考えられますが、御社は今後どのようなとお考えですか？</p>	<p>当社が最重要視するのは、効果と安全性です。患者様の立場に立って考えて見ても、仮に特許料のために10%薬価が高いけれど効果の高い治療薬と、安いけれど効果や安全性に問題のある薬とどちらが求められるかは明白であると考えます。医薬品の選択において、国産だから、安いからというのは、効果や安全性に劣後する要素であると考えます。</p> <p>なお、CRISPR-Cas9は①単一ユニットで構成され、②特定の箇所でDNAの二重鎖を切断するのに対して、Cas3は③複数ユニットによる複合体で、④DNAを不確定の長さで削るという性能上の特性があるので、用途は異なると考えます。</p>
<p>8 網膜色素変性という病気がありますが、これは単一遺伝子疾患とも言われており、これに対する遺伝子治療はどこまで進んでおりますか？</p>	<p>当社の現在のパイプラインの他にも、複数の対象疾患に対してCRISPR-GNDM®技術の応用を検討しており、ご要望もいただいておりますが、当社のパイプライン外の個別の疾患、あるいは他社の研究開発中のパイプラインに関するコメントは控えさせていただきます。</p>
<p>9 現在何か国で特許を取得していますか。</p>	<p>個別の特許にもよるので詳細はご回答できませんが、米国・日本などマーケットの対象となる主要国で特許を申請、取得しており、今後も事業戦略上で必要な国で実施していく方針としております。</p>

## 質問とご回答④

質問	回答
10 研究員の主な経歴と人員推移はどうなっていますか？ 研究員は社員のうちのどれくらいの割合ですか？	<p>米国の研究所は、世界中の製薬会社・バイオベンチャーが研究拠点を置く米国マサチューセッツ州ケンブリッジ市を中心とするボストンエリアのウォルサム市に位置しており、ハーバード大学出身のPh.D.（博士）を中心に世界中から集まる研究人材へのアクセスを高めて採用を行っております。研究部門人材の典型的な経歴は、Ph.D.を有してポスドクを経験した研究員や修士の学位を経たテクニシャンとなります。その他に、中途入社、製薬会社や他のバイオテック企業で遺伝子治療研究開発の経験を積んだ人材を擁しています。</p> <p>人員推移は、2020年12月末時点18名、2021年12月末時点23名、2022年9月末時点31名と増加しています。</p> <p>内訳は、約9割が研究員として研究開発に携わる者で、その他は管理部門の者が所属しています。</p>
11 御社の株価が低迷していて不安です。この株価については、どう受け止めていますか？	<p>株価につきましては、当社以外の様々な要因、市場環境などによって形成される部分があるため回答できる立場にはないと考えます。</p> <p>しかしながら、現状を厳粛に受け止めて、事業成長・企業価値向上に向けてグループ全体で一丸となって着実に努力邁進しています。これらの経営戦略を一層推し進めていくことで、株主の皆さまのご期待に応えてまいりたいと考えております。</p>
12 ライセンスアウトしたものについては、以後収益は得られないのでしょうか？	<p>当社の主な事業収益には、①共同研究開発またはライセンス契約の締結による契約一時金、②各契約に基づくマイルストーン収入、③ライセンス品が上市された場合のロイヤルティ収入、④ライセンスのセールスマイルストーン収入があります。</p> <p>そのため、各収入は契約の締結、または契約に定められた条件を達成したタイミングで事業収益として計上されることとなり、ライセンスアウトしたパイプラインについても各契約の内容によって、適宜のタイミングで各収入が入ることとなります。</p>

## 質問とご回答⑤

質問		回答
13	業績が黒字になるのはいつ頃の予定ですか？	<p>当社は業績予想を開示していないので、黒字化の時期について具体的に何年ということをご回答することができません。</p> <p>なお、当社の企業価値が上がるタイミングは、①良好な前臨床試験データが出る、②治験申請をして当局に受理される（IND）、③臨床試験で安全性・ヒトへの効果の確認ができる、というのが大きなポイントとなり、こうしたイベントが起こることで製薬会社とのパートナーリングに繋がり、大きな事業価値の上昇にも繋がっていくと考えています。</p> <p>詳細は、本説明会動画「企業価値が上がるタイミングはいつか？」(35:16~)を参照ください。</p>
14	ロシアの影響を教えてください。	<p>当社の研究開発は米国で行っており、現時点で認識している直接的な影響はありません。</p>
15	社長の略歴や取締役の構成を教えてください。	<p>内容につきましては、当社HP (<a href="https://www.modalistx.com/jp/company/officer/">https://www.modalistx.com/jp/company/officer/</a>) や開示しております有価証券報告書の【役員の状況】等をご覧ください。</p>

# 本資料の取扱いについて

- 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。当社は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。