

2023年12月期  
第1四半期決算説明資料

The switch



is the Key

**MODALIS**

株式会社モダリス  
(証券コード：4883)  
2023年5月9日

Copyright and proprietary to Modalis

# 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。当社が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。

モダリスは最新の技術によってこれまで治療法がなかった希少疾患に画期的な治療法を提供するために遺伝子治療を開発するバイオテック企業

世界初の  
CRISPR ベースの  
遺伝子制御創薬技術

Epigenetic  
Modulation の  
リーディング  
カンパニー

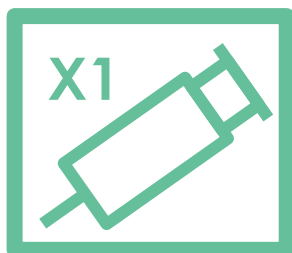
これまで治療法の  
なかった  
遺伝性疾患の  
治療法を創出

*Every life deserves attention*

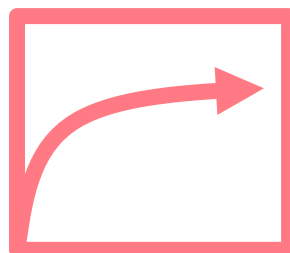
(すべての命に、光を)

# CRISPR-GNDM<sup>®</sup> は医療に革命を起こす新技術

## CRISPR-GNDM<sup>®</sup> 技術のもたらしうる効果



**単回投与**  
反復投与を  
必要としない



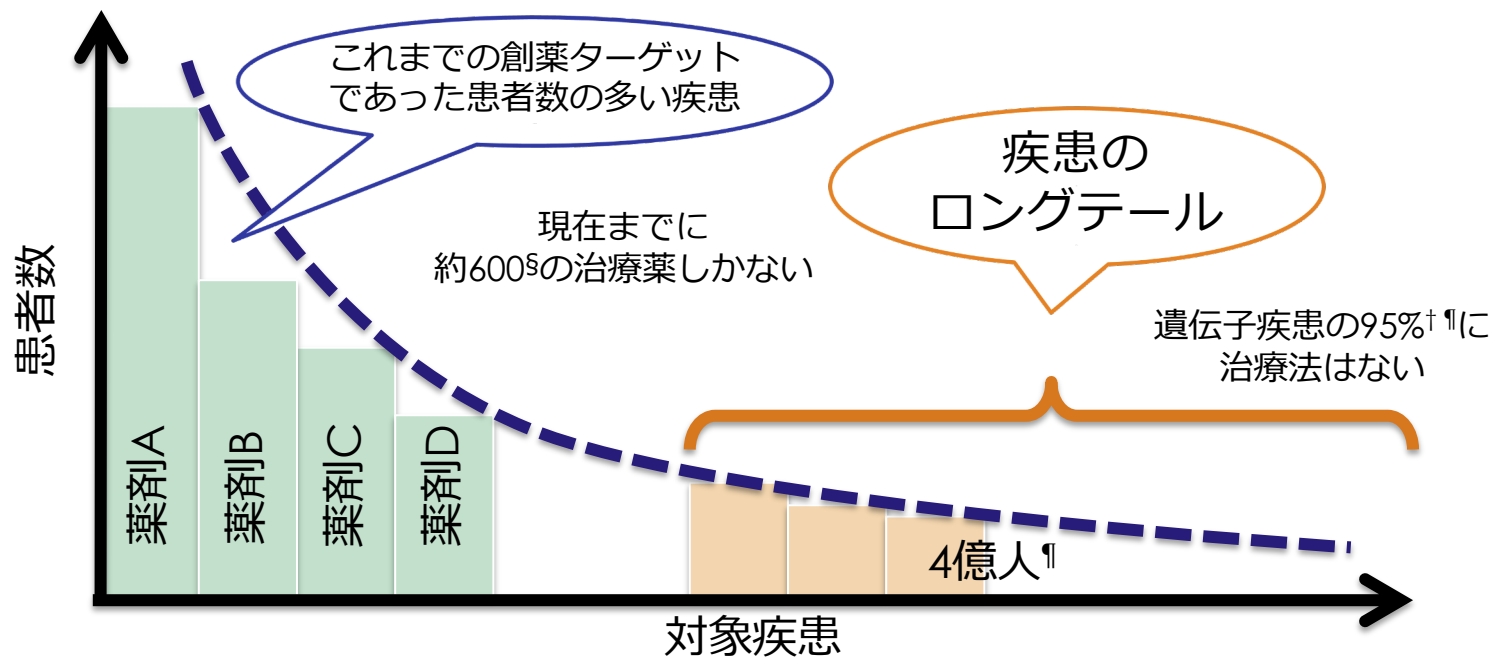
**効果が持続**  
数年あるいは数十年  
に渡って効果が持続



**病態を改善**  
対症療法ではなく  
治療を実現

## 希少疾患への取組み

10,000\*と言われるヒトの疾患の中で、約 7,000# が希少疾患（疾患のロングテール）で、その 80%† が遺伝性疾患とオーバラップし、その 95% に治療法はありません。当社の技術力でこの問題解決に挑みます。



水平展開可能なローコストな開発アプローチが必要

出所: \*21st Century Cure Act, #NIH GARD †innovation.org ¶GlobalGenes.org

§Active therapeutics of 491 NME, 106 BLA, 17 cellular and gene therapy products @FDA as of 2019.7.22 Source from KEGG

# 目次

1. 当期のトピック

2. 決算状況

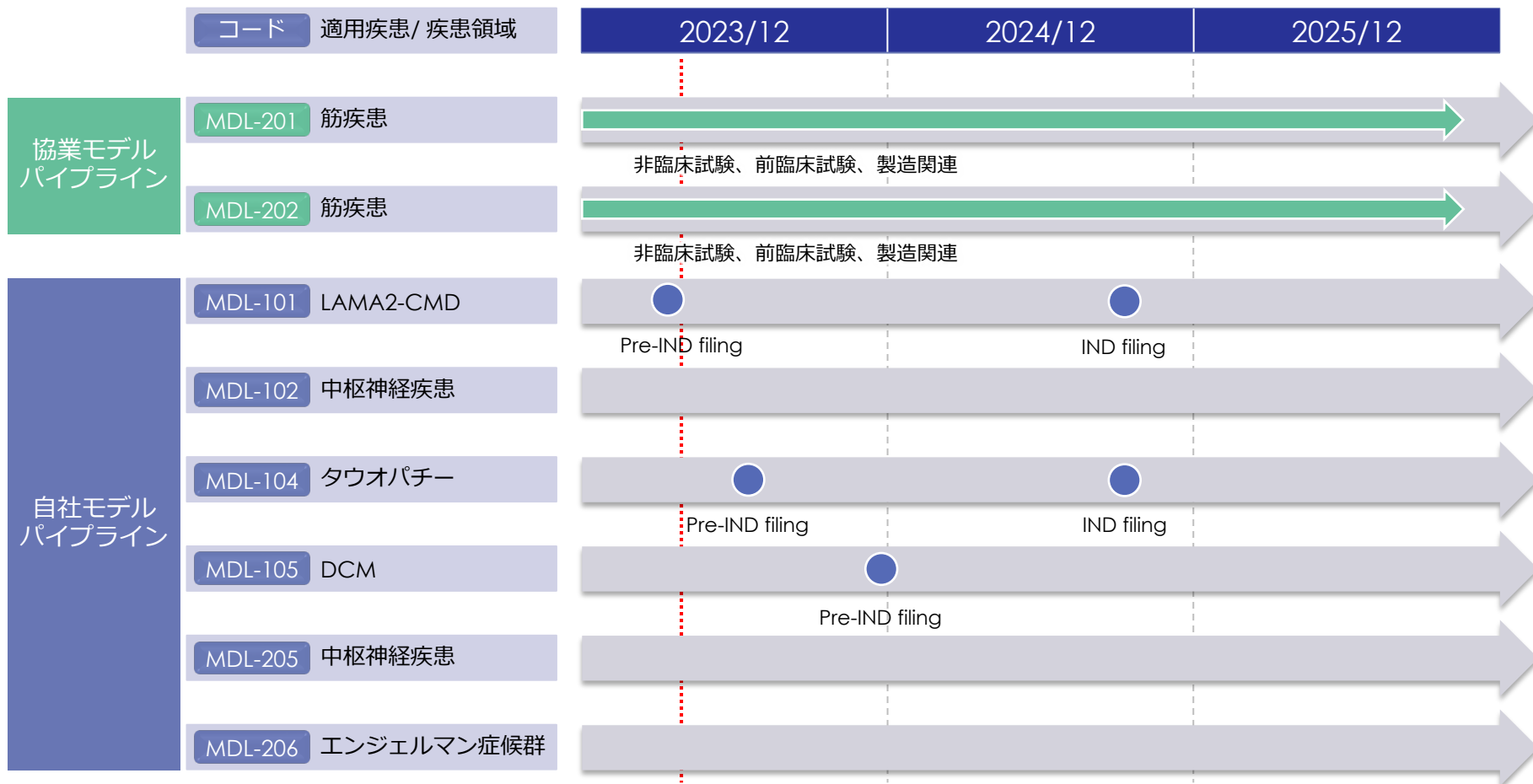
3. 成長戦略

4. Q&A

# 1. 当期のトピック

# パイプラインの状況

MDL-101 は2023年前半の PreIND 申請を経て開発は進捗、またポートフォリオを見直し中



\*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。



# MDL-101（対象疾患：LAMA2-CMD）の進捗サマリー

- 2022/4Q 報告まで
  - 2種の動物モデル（dy2j and dyW）及び正常動物における検証
    - GNDM分子の発現上昇に伴うLAMA-1遺伝子及びタンパクの上昇確認
    - 生理学的、機能的改善及びマウスの生存延長の確認
    - マウスにおいて2年にわたるGNDMの発現持続を確認
  - サルパイロット試験において投与量及び免疫反応のアセスメントを実施
  - FDAとのINTERACTミーティングの実施（2022年7月）
  - Capsidの変更（2022年9月）
  - 改良型Capsidのマウス及びサルにおける評価試験開始（2022年12月開始）
  - 改良型Capsid変更にともなうプロセス変更
  - KOL（分野の専門家）とのディスカッションを経て臨床概要書及びプロトコールの準備
- それ以降の進捗：
  - pre-INDミーティングファイリング（2023年3月末）
  - 米国遺伝子細胞治療学会（ASGCT）のLate-Breaking abstractに採択、口頭発表予定
- 今後の予定：
  - ASGCTでサル試験の結果などを口頭発表（米国時間2023年5月19日予定）
  - PreINDミーティングの実施（2023年7月実施見通し）
  - IND enabling 試験（GLP tox and PK/PD）
  - GMPに向けたプロセス開発及びパイロット製造

## サル試験の結果

- ポイント
  - サルにサル版の MDL-101 (cyMDL-101) を投与
  - 一般的に安全と思われる用量の範囲内で、AAV の遺伝子導入 → GNDM の発現 → LAMA1 の発現上昇を確認
  - 上記結果を受けて、ヒト版の MDL-101 (hMDL-101) が臨床において安全かつ有効性を示す可能性があると思われる用量域を推定。治験デザインに取り込む
  - さらに踏み込むと、当該ベクター及びGNDM を用いて筋肉疾患にアプローチする他のパイプラインに外挿した場合、それらにおいても有効性がおよぶことを示唆する
- 詳細は 2023年5月19日の ASGCT 発表後に報告

## その他研究開発に関する進捗サマリー

- MDL-104 (Tau)
  - サルにおける BioDistribution（体内分布） study 実施中
  
- MDL-105 (TTN)
  - 動物による PoC 検証を実施中
  
- MDL-205
  - 共同研究に係る権利の再取得を調整中
  - 調整が済み次第、ターゲット、進捗状況及び今後の開発戦略について報告予定

## その他事業に関する進捗サマリー

- 特許に関する進捗
  - 東京大学と共同で出願した特願 2019-217432（PAM 拡張 Cas9 特許）が日本で特許査定（2023年4月）
  
- パートナリングに関する進捗
  - MDL-101 の新たな評価結果を追加して複数の会社と提携に向けたディスカッションを継続・再開
  - 新規共同研究: 複数の製薬・バイオテック企業とディスカッション中

## 2. 決算状況

# 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	リード最適化	IND Enabling	前期臨床	ピボタル試験
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-101	LAMA2-CMD*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	→				
MDL-105	DCM*4	自社	自社	→				
MDL-205	中枢神経	自社	自社	→				
MDL-206	エンジェルマン症候群	自社	自社	→				

\*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: LAMA2-CMD = 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。

\*4: DCM = Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

## 2023年12月期 第1四半期 業績状況

(百万円)

	2022年12月期 第1四半期 (A)	2023年12月期 第1四半期 (B)	差異 (B) - (A)
事業収益	40	-	△40
事業費用	507	514	7
研究開発費	442	443	1
販管費	65	71	6
営業利益	△466	△514	△48
経常利益	△443	△509	△66
当期純利益	△438	△532	△94

### 事業費用

- ・ MDL-101 の臨床試験への取組み（治験薬製造等のプロセス開発費用、AAV 変更費用等）
- ・ 事業の進捗、自社モデルパイプラインの増加及び米ドルの円安に伴う研究開発費増加（主に、人件費、試薬等の研究材料費、家賃）

### 特別損益

- ・ 特別損失として固定資産の減損損失（22百万円）を計上

## 2023年12月期 第1四半期 財務状況

(百万円)

	2022年12月期末 (A)	2023年12月期 第1四半期 (B)	差異 (B)-(A)
流動資産	3,061	2,831	△230
現金及び預金	2,933	2,708	△225
固定資産	68	68	0
資産合計	3,129	2,899	△230
流動負債	141	201	60
固定負債	47	44	△3
負債合計	188	245	57
純資産合計	2,941	2,653	△288
負債純資産合計	3,129	2,899	△230
自己資本比率	93.4%	90.9%	

### NOTE

- ・高い自己資本比率を維持  
より安定した財務基盤を確保するために、ファイナンスを実施中 (p.21 参照)
- ・2022年度末からの減損損失計上により固定資産は減少しB/Sはスリムに

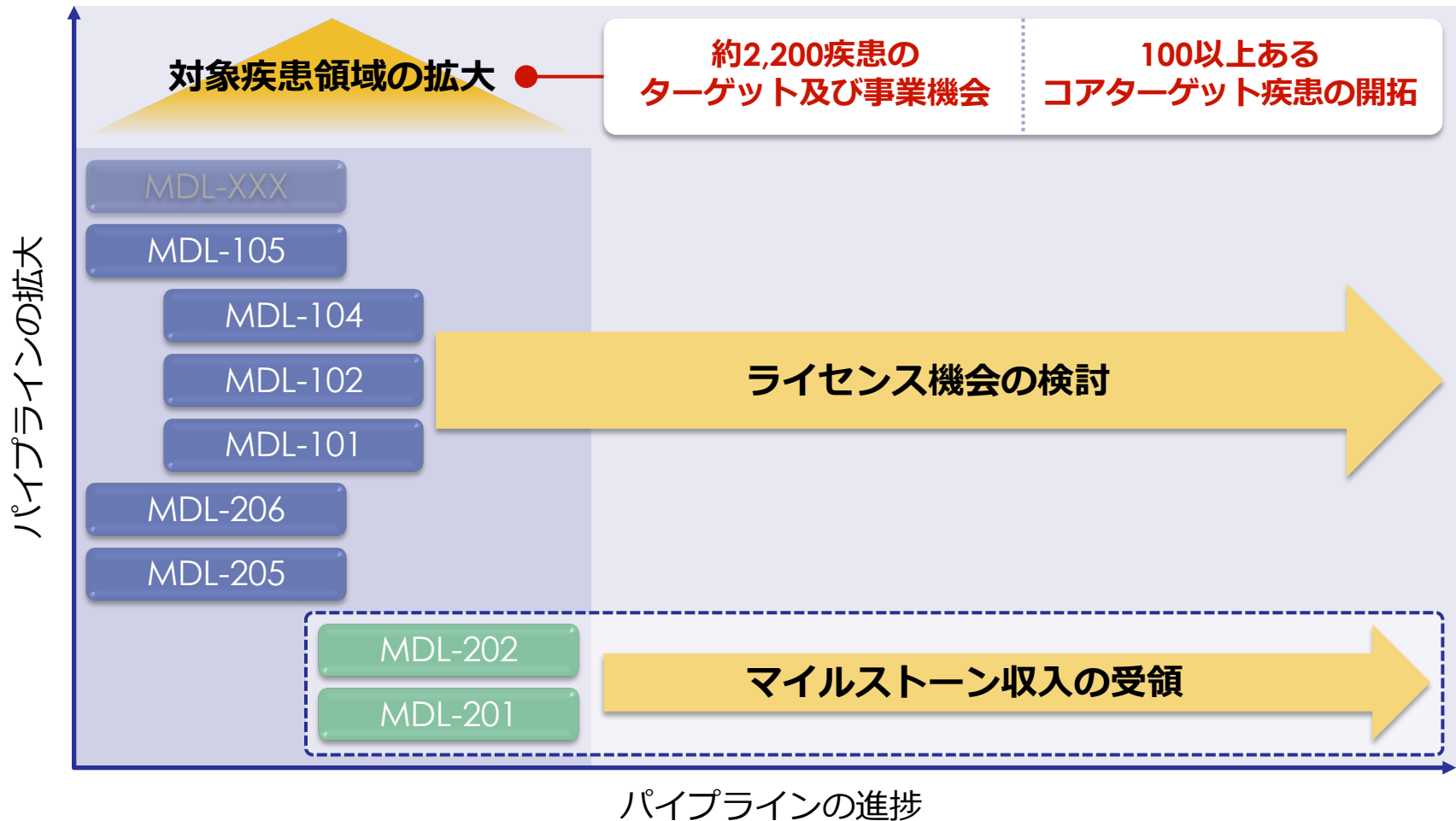


## 3. 成長戦略

# 成長戦略

パイプラインの拡大と進捗で成長余地は豊富

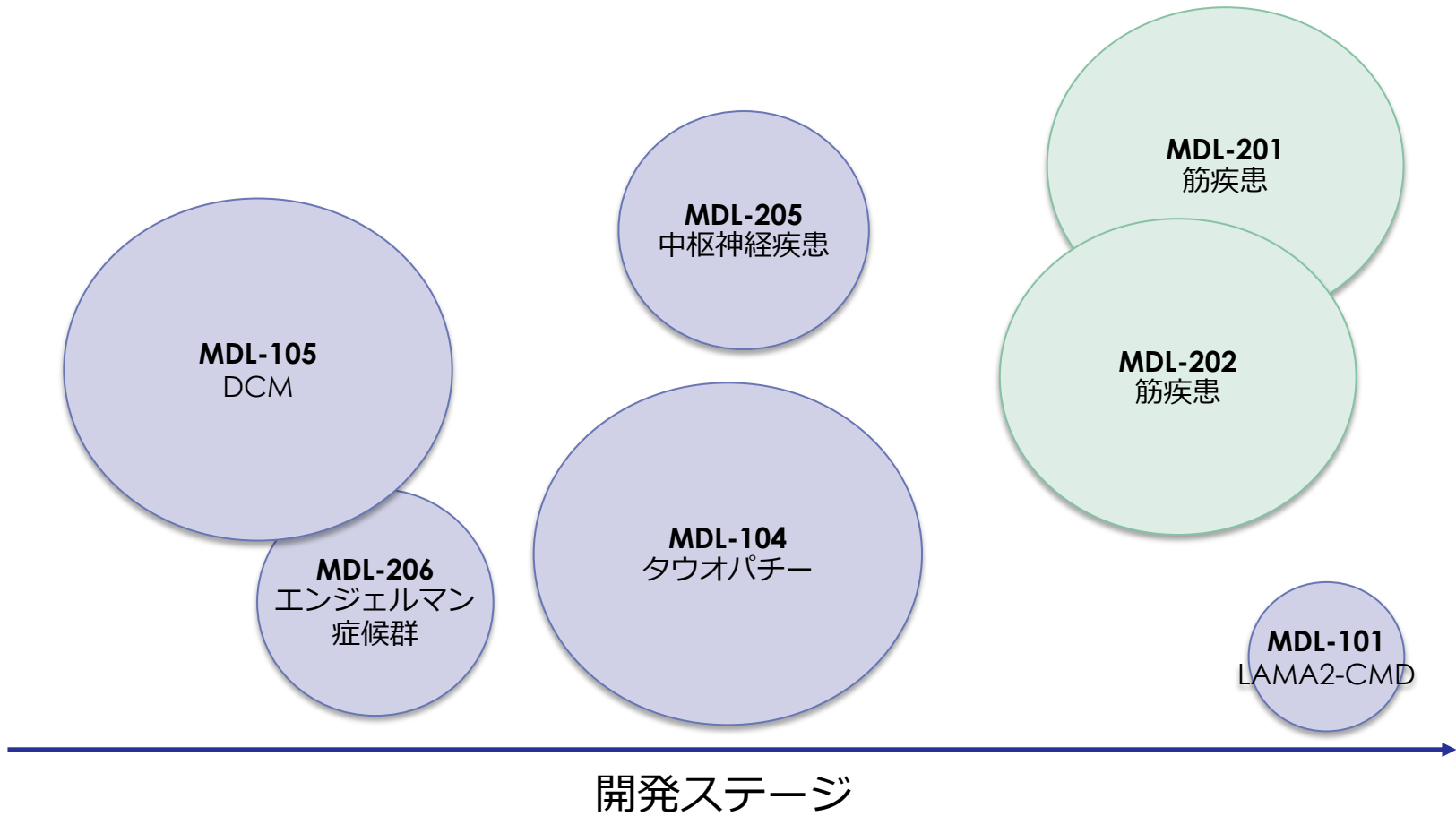
## パイプラインの今後の展開



# 開発パイプラインと市場規模のイメージ

MDL-101 で作る開発実績を、大型パイプラインが追いかける

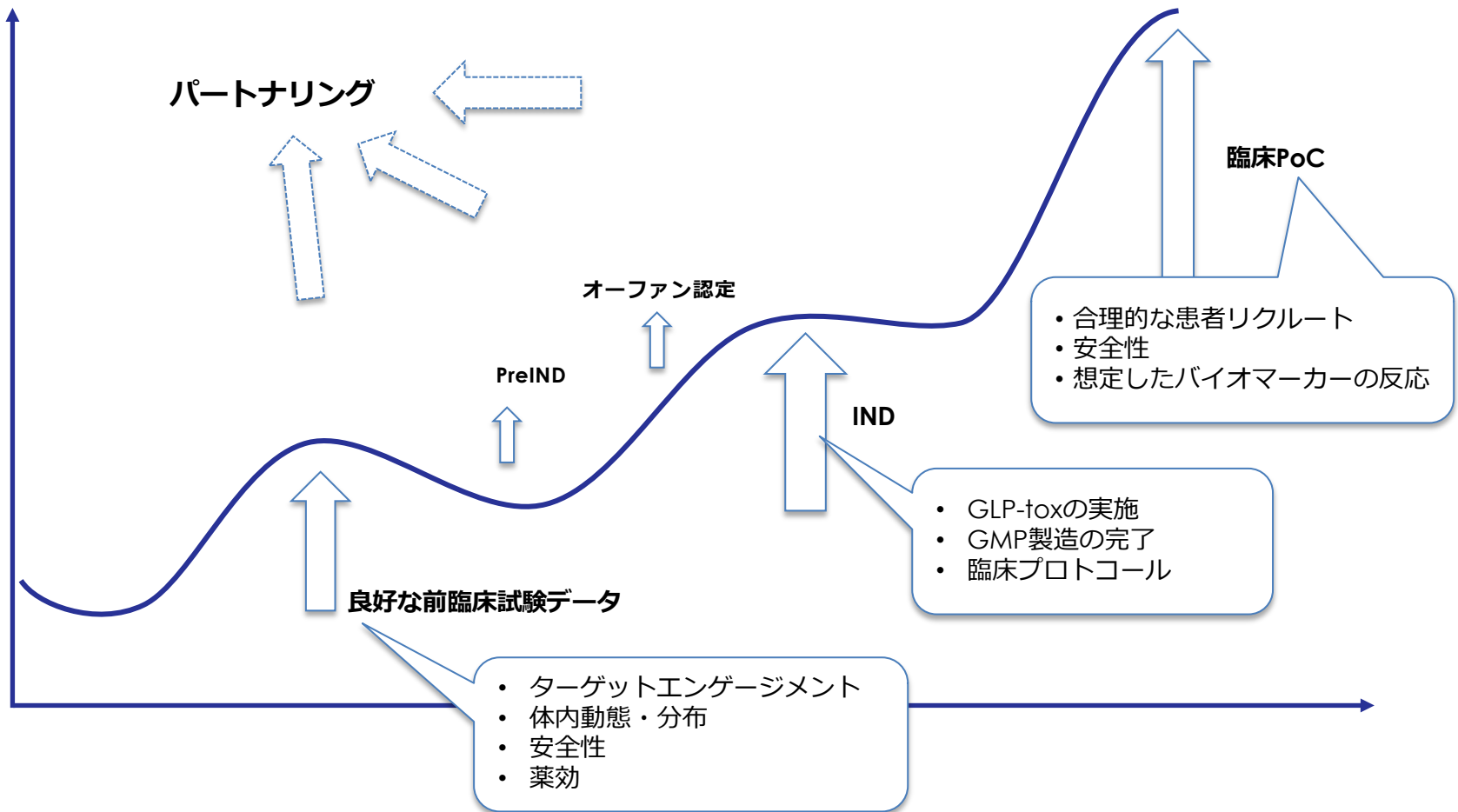
## モダリスの開発パイプライン



※ 円の大きさは患者数あるいはそれに伴う市場規模のイメージ

# 今後、前臨床、臨床を経て、企業価値向上を目指す

計画されるイベントとそれに伴う企業価値推移のイメージ



## 実施中の資金調達

(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)

資本増強で提携交渉を有利に進めるとともに、成長投資のための資金に充当し研究開発を進捗させることで企業価値の向上を図る

### ➤ 資金使途

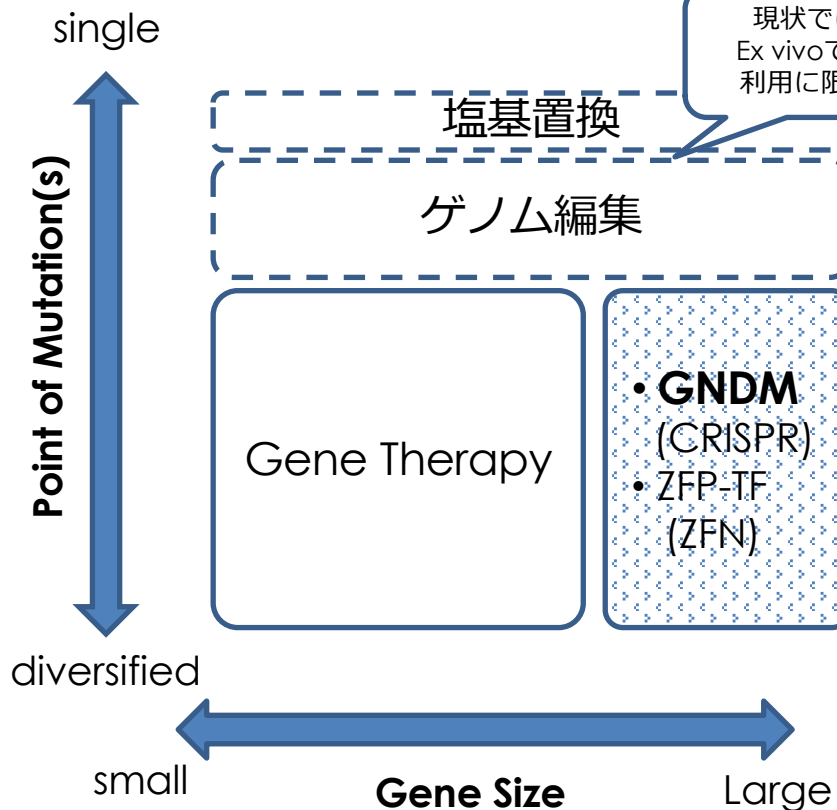
No.	具体的な資金使途	金額（百万円）	支出予定時期
1	AAVの改良に必要な評価・検証試験、ライセンス料、製造関連費用等	500	2022年12月～2023年12月
2	今後新規に開始されるプロジェクトを含めた自社パイプラインの研究開発費（人件費を除く）	1,391	2023年1月～2025年12月
3	研究開発を推進する研究員の人件費及び採用費	400	2023年1月～2025年12月
合計		2,291	

### ➤ 概要

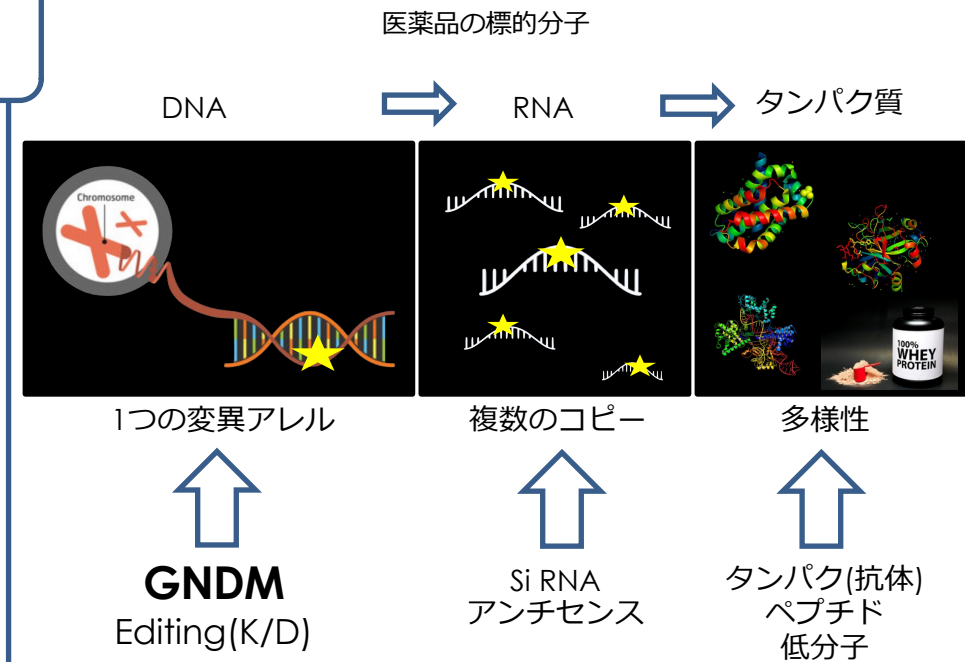
行使可能期間	2022年12月7日～2025年12月5日（約3年間）
発行する潜在株式数	5,800,000株
当該事項での発行済株式数（4月末）	1,000,000株（未行使株数4,800,000株）
行使価額 （新株予約権の行使時の交付株式の対価）	行使の都度、各行使請求日の直前取引日終値×90%に修正
当初行使価額	395円（発行決議日の直前取引日終値）
下限行使価額	277円（発行決議日の直前取引日終値に70%を乗じた額）

# 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



K/D: Knock-down

# CRISPR 領域においても Modalis はユニークな技術ポジションを確立

## CRISPRおよび遺伝子制御領域におけるポジショニング

	編集		制御
	遺伝子	塩基	(エピジェネティック編集)
CRISPR	Editas Intellia CRISPR	Beam	 Tune Chroma EpicBio
その他 (例: ZFN)		Sangamo	Encoded

## 4. Q & A

(本開示資料及びお問い合わせに関して)



## Q1 最近、他のゲノム編集技術の報道を目にすることがありますが、モダリスの開発に何らかの寄与または影響があるものですか？

A) 2012年の CRISPR 技術の発明以降、様々な改良や、他のゲノム編集技術が研究開発されてきました。また CRISPR 以前にもジンクフィンガー（ZFN）などによるゲノム編集が存在していました。

当社の CRISPR-GNDM<sup>®</sup> 技術は、CRISPR によるゲノム編集技術の他、ウィルスキャプシドによるデリバリー技術、ガイド RNA の選択、プロモーターや、転写活性化・抑制因子などの組み合わせによる集大成であり、一部の要素技術の改良では一朝一夕には乗り越えられないものであると考えています。

また、医薬品は技術だけではなく、それを製造販売するために必要な知財のライセンスを行う必要があります。そういったものを整備していくこともビジネス上に必要になります。当社はこの分野で 7 年以上前からこうした技術の利点に着目し、技術及び事業の整備を行ってきており、世界のリーダーであると自負しておりますが、こうして近年に追いかけてくる企業があることは、この分野の将来の魅力の裏付けであるとも考えており、リーディングポジションを引き続き守るべく事業を推進したいと考えております。

## Q2 ASGCT (学会) で発表されるとのことですが、どのような意義がありますか？

A) 米国細胞遺伝子治療学会 (ASGCT) は世界の遺伝子治療分野における最大規模かつ最先端の情報が集まる学会であり、こうした学会において採択のハードルが比較的高いと考えられている Late-Breaking Abstract として採択されて口頭発表できることは名誉であると考えております。

世界で最初の CRISPR を用いたエピジェネティック編集薬である MDL-101 の病態モデルマウスやサルなどにおけるデータを発表できることは、当社が科学技術の進歩に貢献できる機会として重要であると考えております。

また、同学会には当該分野で事業を行う世界中の製薬企業やバイオテック企業が参加をしていますので、こういった学会で注目を集めることは提携機会の拡大や推進に寄与するものと考えています。

## 当社へのお問い合わせについて

IR等に関するお問い合わせについて、当社ではフェアディスクロージャーの観点から、個別に直接のご連絡によるご回答ではなく、ウェブサイト等において情報開示を充実させ広く周知を図ることが適切であると判断して、下記のご対応としております。

お問い合わせは、当社HPの「お問い合わせ」ページにて受付しております。

<https://www.modalistx.com/jp/contact/>

いただいたお問い合わせは、当社にて公表の良否を諮り、ご回答すべきと判断した内容を当社HPのFAQページまたは今後の開示情報にて公開いたします。

なお、電話でお問い合わせをいただいても、お問い合わせの受付または担当者へのお取次ぎは致しかねますので、予めご了承くださいませようお願いします。

今後とも、株主の皆様ならびに投資家の皆様への公平な情報開示の開示に一層心掛けてまいりますので、何卒ご理解賜りますようお願いいたします。