



2023年8月7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-201 及び MDL-202 にかかる権利の再取得のお知らせ

当社は、アステラス製薬株式会社（以下、アステラス製薬といいます。）との間で、2019年に締結したライセンス契約に基づき供与していたMDL-201及びMDL-202の開発、製造・販売権を再取得しましたのでお知らせいたします。また同時にこれらの対象疾患が、それぞれデュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）及び筋強直性ジストロフィー1型（DM1）であることを明らかにいたします。

MDL-201及びMDL-202は筋肉における遺伝性疾患をターゲットとしたプログラムで、CRISPR-GNDM®プラットフォームに基づいて作られた遺伝子治療薬の開発候補品です。両社の間で2017年に始まった共同研究の成果であり、2019年に両者間で締結したライセンス契約に基づいてアステラス製薬が開発、製造・販売権を取得し、前臨床ステージにありました。

DMDは男児に主に影響を及ぼす進行性の筋疾患で、X染色体のディストロフィン遺伝子の変異が原因となります。この疾患により、筋肉の弱点や萎縮が生じ、歩行困難や筋力低下、呼吸困難などの症状が現れます。通常、症状は幼児期に現れ、徐々に進行していきます。一方、DM1は筋肉疾患の中でも広範な臓器に影響を及ぼす遺伝性疾患です。この疾患はCTGトリプレットリピートの変異がDMPK遺伝子の3'UTR(非翻訳)領域に生じることに関連しており、筋力低下、筋痙攣、筋萎縮、心臓機能の異常、呼吸困難などの症状を引き起こすことがあります。

いずれの疾患も患者さんの生命及びQOLに大きく問題を引き起こす筋疾患であり、当社は、同じく筋疾患に対するプログラムであるMDL-101の自社開発で培った知見を元にMDL-201及びMDL-202に改良を施す事で、プロダクトの薬効と安全性をより高め、開発を加速させることができると判断いたしました。そのため、当社から当該開発品の開発販売権について再取得の申し入れを行い、両社間で協議を行った結果、いずれのプロダクトの権利も一定の条件の下にモダリスが再取得することになりました。なお、条件の詳細については開示を行わない旨両社で合意しています。

当社は当該パイプラインの再取得を行うと同時に、パイプラインの再編成を行い、MDL-101及びMDL-202を中心に、よりフォーカスした開発を行う方針を決定しております。

本件による、2023年12月期以降の当社研究開発費に比して影響は軽微であります。

以 上