

2024年12月期 第2四半期決算説明資料

The switch



is the Key

株式会社モダリス
(証券コード：4883)
2024年8月7日



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、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。
- 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。

Modalis について



MODALISのバリューハイライト

CRISPRを用いた**エピゲノム編集**に基づく治療薬開発に企業として世界で最初に取り組み、CRISPR-GNDM[®]プラットフォームで世界をリード

複数の動物種(齧歯類および霊長類)において、**長期にわたる発現制御と機能改善**を安全性を維持しながら実現

前臨床段階にある**神経筋疾患パイプライン**の他、中枢神経疾患や心筋症など拡張性のあるターゲット領域

難易度の高いAAVに対して**製造法を確立**し、組織選択的なデリバリー法を実現

エピゲノム編集プラットフォームに精通した**経験値の高いチーム**

ライセンス特許を含む複層的な**知財ポートフォリオ**

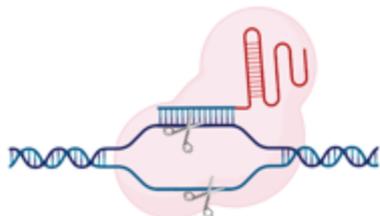
FDAなど当局との対話を通じた**明確化された臨床試験までの道筋**

CRISPR-GNDM[®]はDNA改変を伴わない差別化された遺伝子治療技術

遺伝子疾患をスイッチのON/OFFで制御する

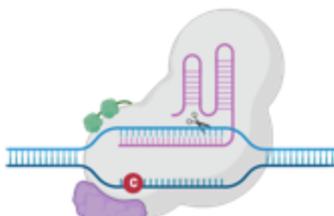
遺伝子治療技術

ゲノム編集



不可逆的な切断

塩基/プライム編集



不可逆的な置換

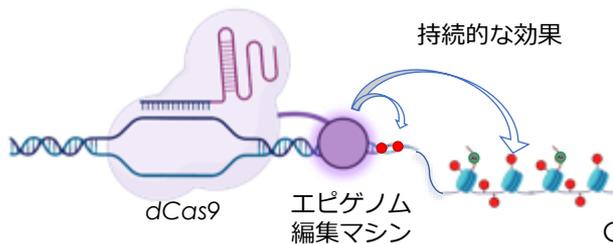
siRNA / アンチセンス核酸



一時的な抑制

エピゲノム編集(CRISPR-GNDM[®])

DNAの切断や改変を伴わない
=安全



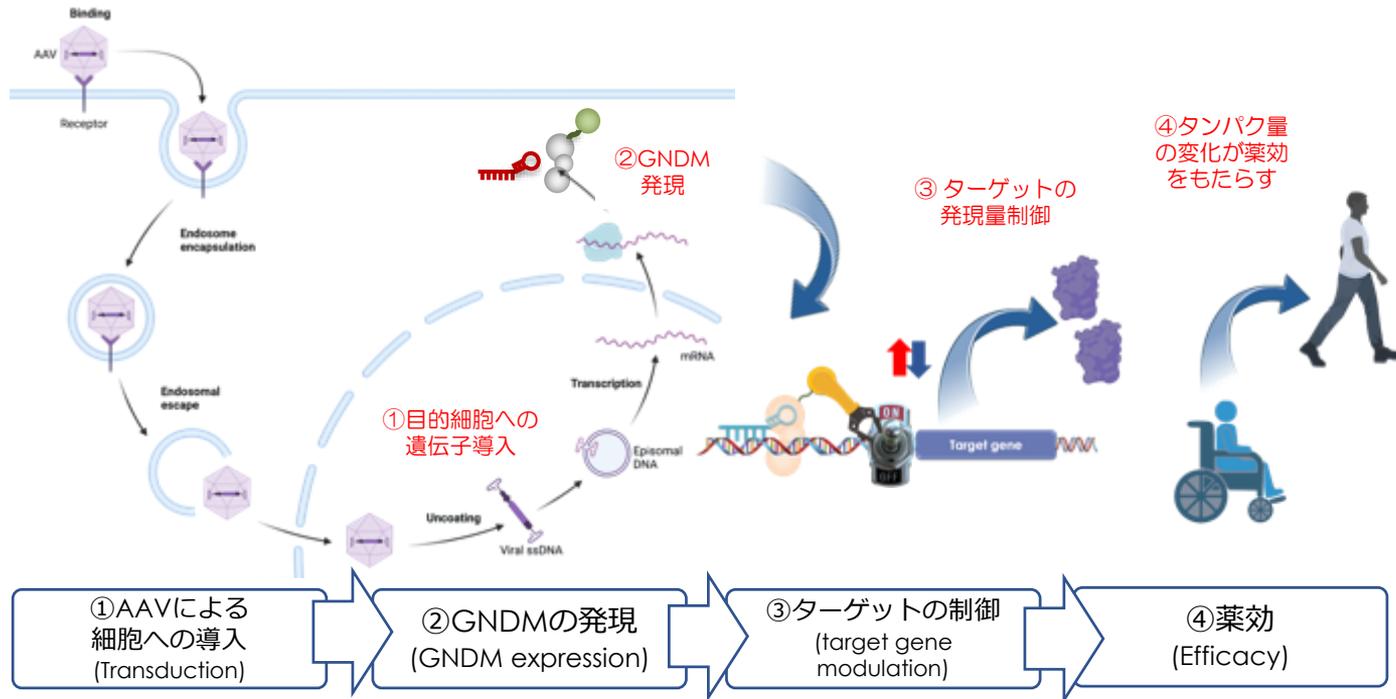
持続的な効果

dCas9

エピゲノム
編集マシン

GNDM=Guide Nucleotide Directed Modulation
ガイド核酸誘導型遺伝子制御

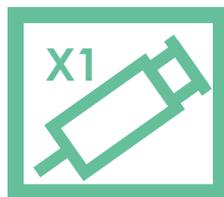
薬効までの4段階のうち、GNDMの発現までは筋肉疾患プログラム内でサルまで動作保証の取れた共通のプラットフォームを使っている



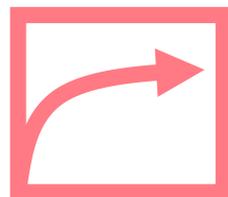
CRISPR-GNDM[®] は医療に革命を起こす新技術

1回の投与で病態改善効果が持続

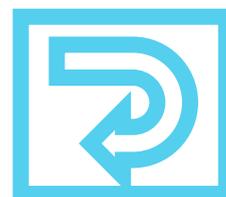
CRISPR-GNDM[®] 技術のもたらしうる効果



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

エピゲノム編集の競合環境

追走集団が現れるも、モダリスが経験とノウハウでリード

企業	設立年	投資ステージ	プラットフォーム	パイプライン/対象疾患	開発ステージ
	2016	公開	CRISPR-GNDM x AAV	<ul style="list-style-type: none">MDL-101/LAMA2-CMDMDL-202/DM1	preIND完了 IND enabling試験中
Tune Therapeutics	2020	シリーズB (\$120M, 2023)	DNMT-KRAB 融合 dCas9 x LNP	B型肝炎 (PCSK9高コレステロール血症)	前臨床 サル試験の結果がASGCT2023 で報告
Chroma Medicine	2021	シリーズB (\$135M, 2023 年3月)	DNMT-KRAB 融合 dCas9 x LNP	PCSK9高コレステロール血症 (B型肝炎)	前臨床 ASGCT2024で報告
EpicBio	2022	シリーズA (\$55M, 2022年 7月)	DNMT融合Cas12f x AAVrh74	EPI-321/FSHD	前臨床 ASGCT2024で報告

DMD治療薬の本承認を加え、遺伝子治療は2024年だけでも3剤がFDAに承認されている

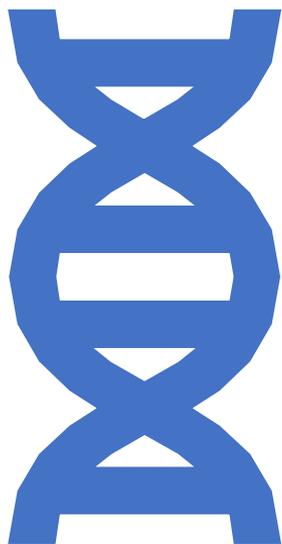
遺伝子治療はいよいよ本格的な拡大期に

USで承認された遺伝子治療薬

製品名	承認年	薬価	対象疾患	開発企業	患者規模#1	世界市場規模 (USD)
LUXTURNA	2017	\$850k	遺伝性網膜ジストロフィー	Spark/Roche	10万人に2人	\$65M ^{#3}
ZOLGENSMA	2018	\$2.1M	SMA ^{*1}	(Avexis)/Novartis	1万人の新生児に1人 (米国で約1~2.5万人)	\$1.3B ^{#3}
HEMGENIX	2022	\$3.5M	血友病B	uniQure/CSL Behring	3万人の男性に1人	\$3.2B ^{*4}
Vyjuvek	2023	\$631k/患者・年	DEB ^{*2}	Krystal	100万人に3.5~20.4人	~\$200M ^{#2}
ELEVIDYS		\$3.2M	DMD ^{*3}	Sarepta	3500人の男子新生児に1人	\$4.1B ^{*4}
ROCTAVIAN		\$2.9M	血友病A	BioMarin	5千人の男性に1人	\$11B ^{*4}
Casgevy		\$2.2M	SCD	CRISPR Tx/Vertex	アメリカに10万人	>\$2B ^{#5}
LYFGENIA		\$3.1M		Bluebird		
Lenmeldy	2024	\$4.25M	異染性白質ジストロフィー	Orchard/KyowaKirin	10万人の新生児に1人	?
beqvez		\$3.5M	血友病B	pfiizer	3万人の男性に1人	\$3.2B ^{*4}
ELEVIDYS		\$3.2M	DMD ^{*3}	Sarepta	3500人の男子新生児に1人	\$4.1B ^{*4}

出典: National Organization for Rare Disorder、#2 Fierce Biotech #3各社ウェブサイト #4Grand view research社 #5 Fortune Business Insight

*1: Spinal muscular atrophy(脊髄性筋萎縮症) *2: dystrophic epidermolysis bullosa *3: Duchenne muscular dystrophy *4 DelveInsight



目次

1. 第2四半期のトピック

2. 決算状況

3. 成長戦略

– 同時発表のファイナンスについて

4. Q&A

1. 第2四半期のトピック

01

MDL-101はINDに
向けて前臨床試験
を遂行中

02

論文・学会発表

03

新規の共同研究を
設定

04

追加の経営合理化
を実施

05

その他

パイプラインの状況

MDL-101を中心とした神経筋疾患フォーカスして開発

Code	疾患名 /疾患領域	所有権	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-101	LAMA2-CMD*1	Modalis	→			筋疾患	
MDL-202	DM1 *2	Modalis	→				
MDL-201	DMD *3	Modalis	→				
MDL-103	FSHD *4	Modalis	→				
MDL-105	DCM*5	Modalis	→			心筋症	
MDL-104	タウオパチー	Modalis	→			中枢神経症	
MDL-206	エンジェルマン症候群	Modalis	→				
MDL-207	ドラベ症候群	Modalis	→				

*1: LAMA2-related congenital muscular dystrophy = 先天性筋ジストロフィー1A型。

*2: Myotonic Dystrophy Type 1 =筋強直性ジストロフィー1型

*3: Duchene Muscular Dystrophy (デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

*4: facioscapulohumeral muscular dystrophy =顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー

*5: Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

MDL-101は INDに向けて 前臨床試験 を遂行中

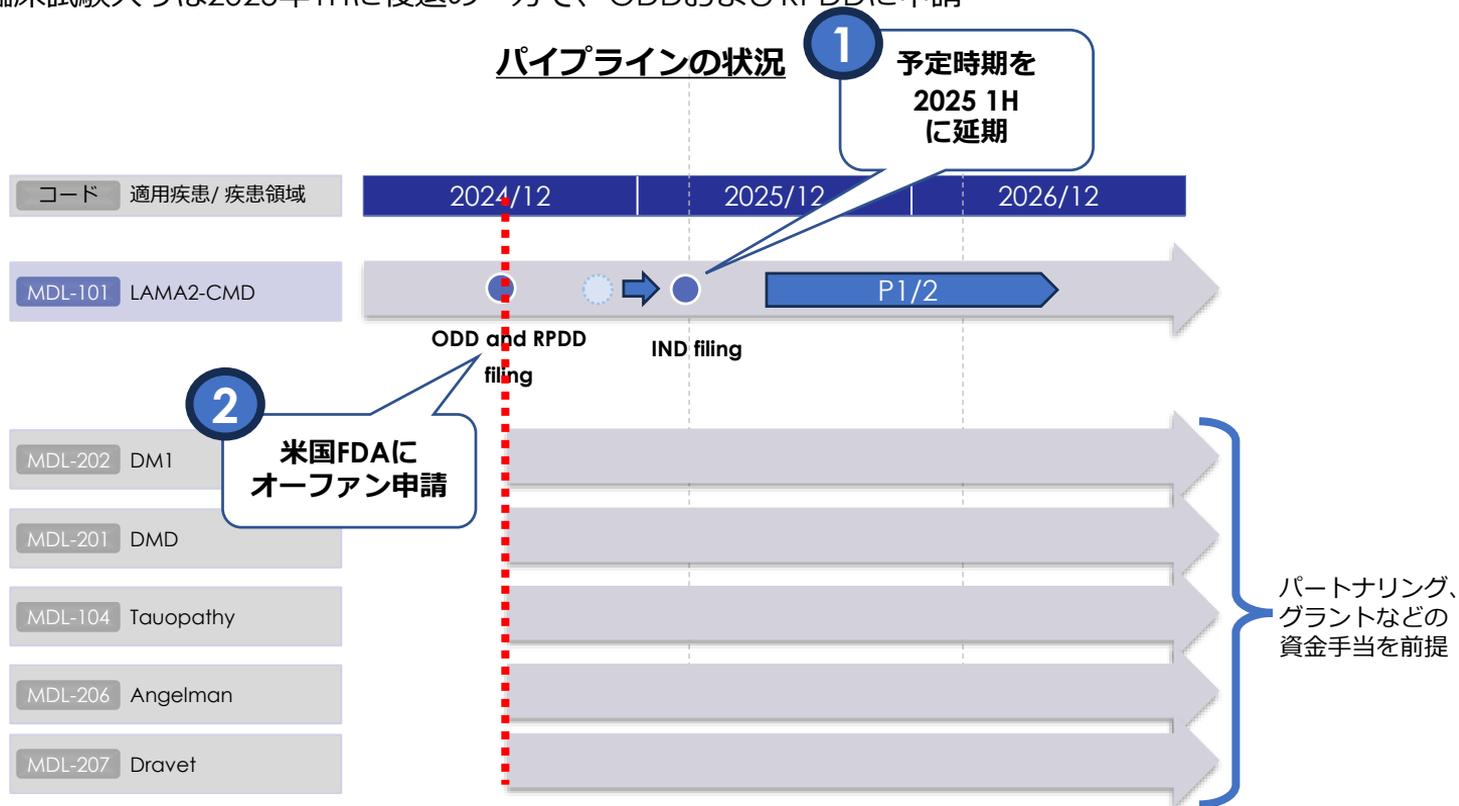
- プロセス開発を完了
- GLP毒性試験計画の準備
- 臨床試験関連の組織化とコーディネーション

戦略的パイプライン の優先順位付けと 経営合理化

- MDL-101によりフォーカスした開発戦略にシフト
 - 他のプログラムは引き続き研究を継続
- 米国法人の人員をダウンサイズ
 - ミッションを完了した製造チームを中心にダウンサイズを実施(4月&6月)
- 共同研究などは維持

Good news and bad news

MDL-101の臨床試験入りは2025年1Hに後退の一方で、ODDおよびRPDDに申請



*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の INDファイリング 遅延の背景について

- 資金計画および開発計画の見直し
- 経営合理化に伴うチームの再配置

FDAオーファン申請のメリットについて

- **Orphan Drug Designation (希少疾患認定)**

- 臨床試験費用の税控除
- 申請費用などの免除
- 上市後7年間の排他的地位の認定

- **Rare Pediatric Disease Designation (小児希少疾患認定) and Priority Review Voucher Programs**

- 承認申請後の優先審査バウチャーの付与(間もなく優遇措置は終了)

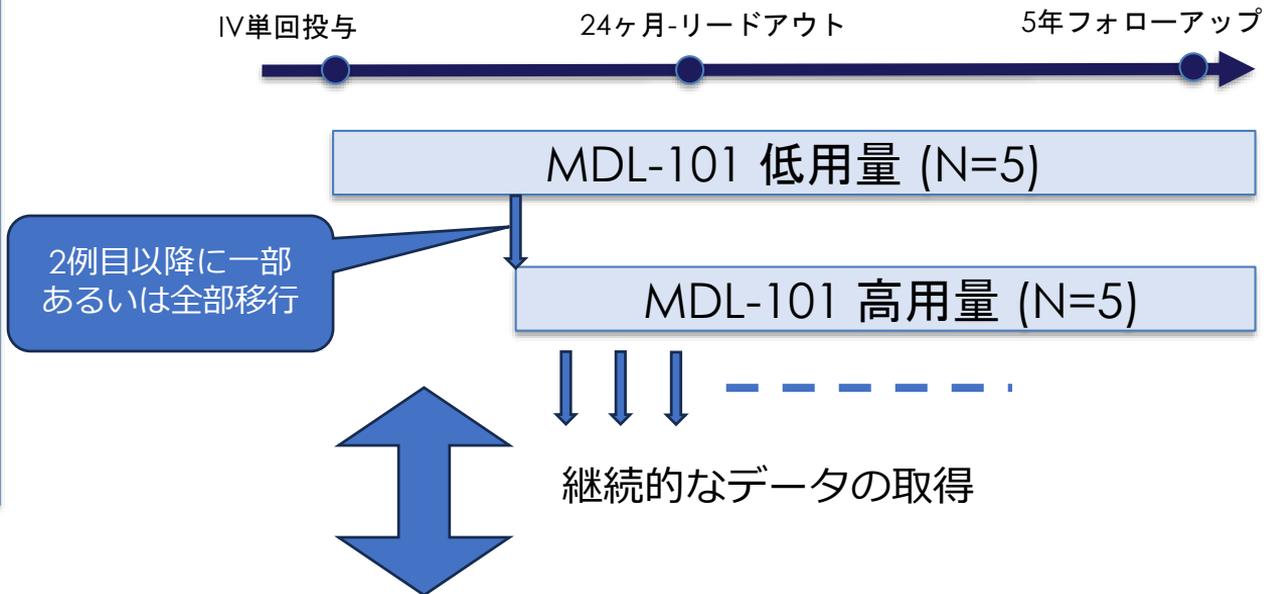


対象疾患の希少性と医学的妥当性などによって審査

臨床試験は2用量のオープンラベル試験のデザインで行われる

MDL-101-001 フェーズ1/2 オープンラベル用量漸増試験の概要

- LAMA2-CMD 36ヶ月齢あるいはそれ以下の患者(男女)
- 病態およびLama2遺伝子の変異 and/or 筋肉におけるLAMA2 タンパク量の顕著な低下
- 治療上における安定期
- 自律的歩行や座位が困難



Natural History Study(自然経過観察試験 NCT06354790)との比較

CRISPR-GNDM®を使ったMDL-101の前臨床データに関する論文を発表

当社として
また業界初の
論文報告



bioRxiv
THE PREPRINT SERVER FOR BIOLOGY

New Results

**Efficient and durable gene activation by Cas9-mediated epigenome editing
in vivo**

Posted May 05, 2024.

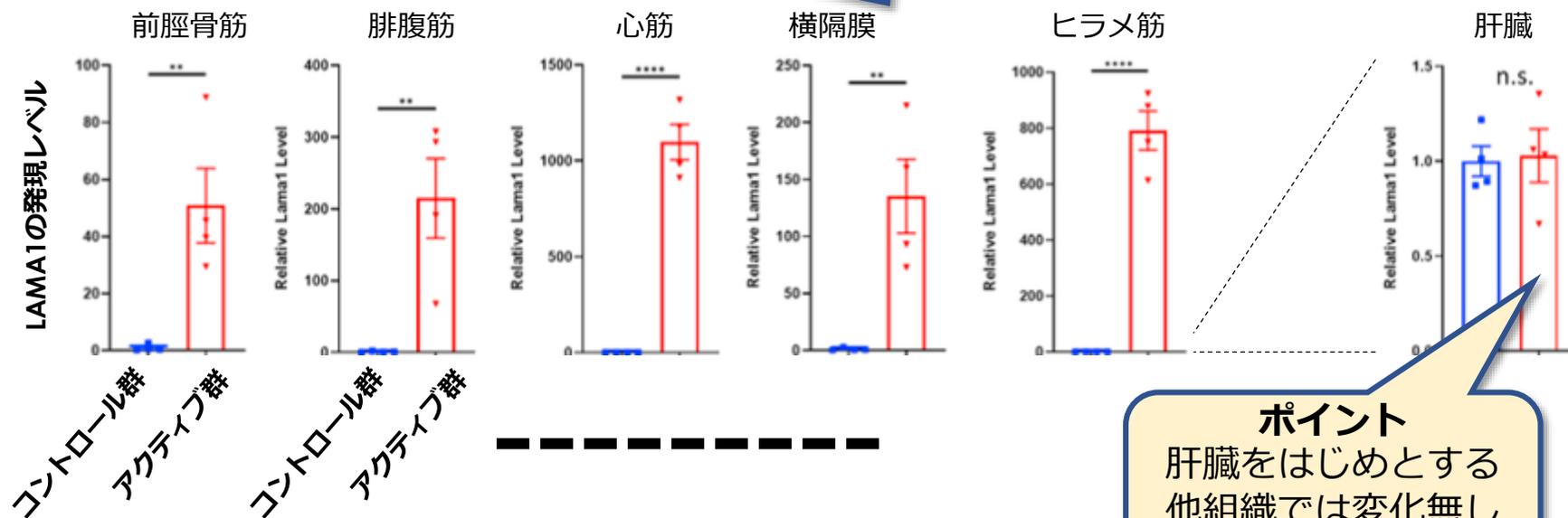
Yuanbo Qin, Talha Akbulut, Rajakumar Mandraju, Keith Connolly, John Bechill, Farzaneh Assadian, Alison Shottek, Seth Levy, Jamie Benoit, Tetsuya Yamagata

doi: <https://doi.org/10.1101/2024.05.03.592438>



GNDM投与によってLAMA1は広範な筋肉組織で上昇し、非筋肉組織では変化なし

ポイント
広範な筋肉組織で圧倒的な上昇

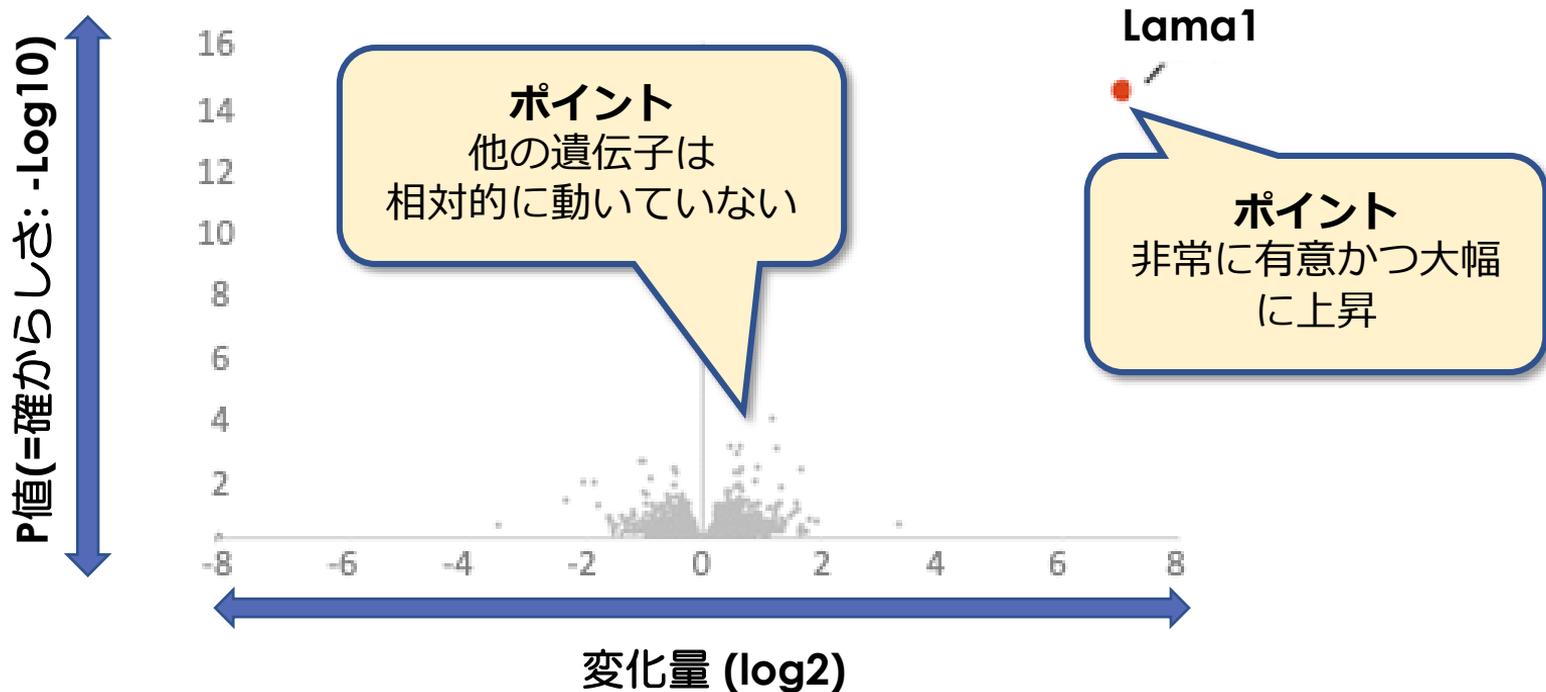


ポイント
肝臓をはじめとする
他組織では変化無し
かつ低位



GNDMはLAMA1を選択的に上昇させる

RNAseqによる遺伝子の増減比率解析





LAMA1は広範な筋肉細胞に発現

LAMA1 LAMA2

腓腹筋

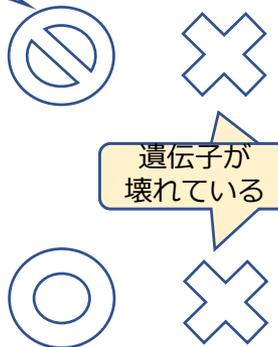
心筋

正常マウス

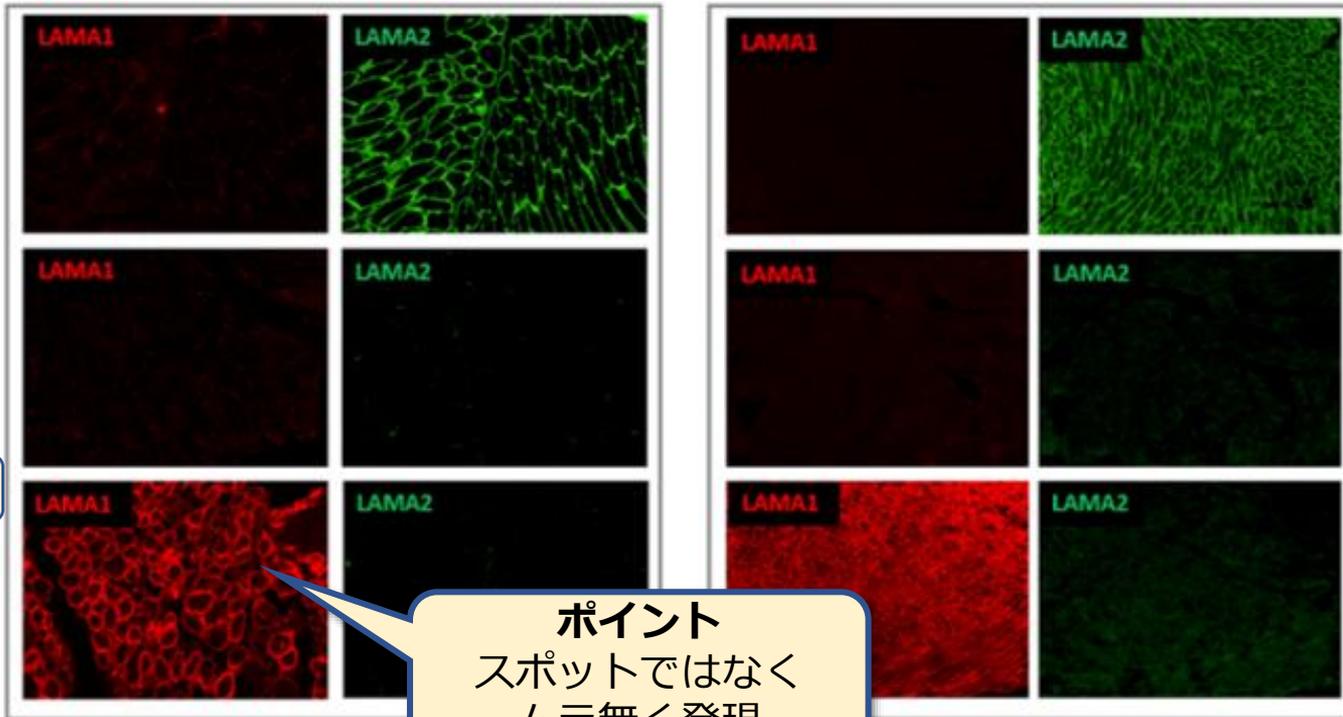


遺伝子はあるが
起きていない

病態モデル
(dyW)



遺伝子が
壊れている

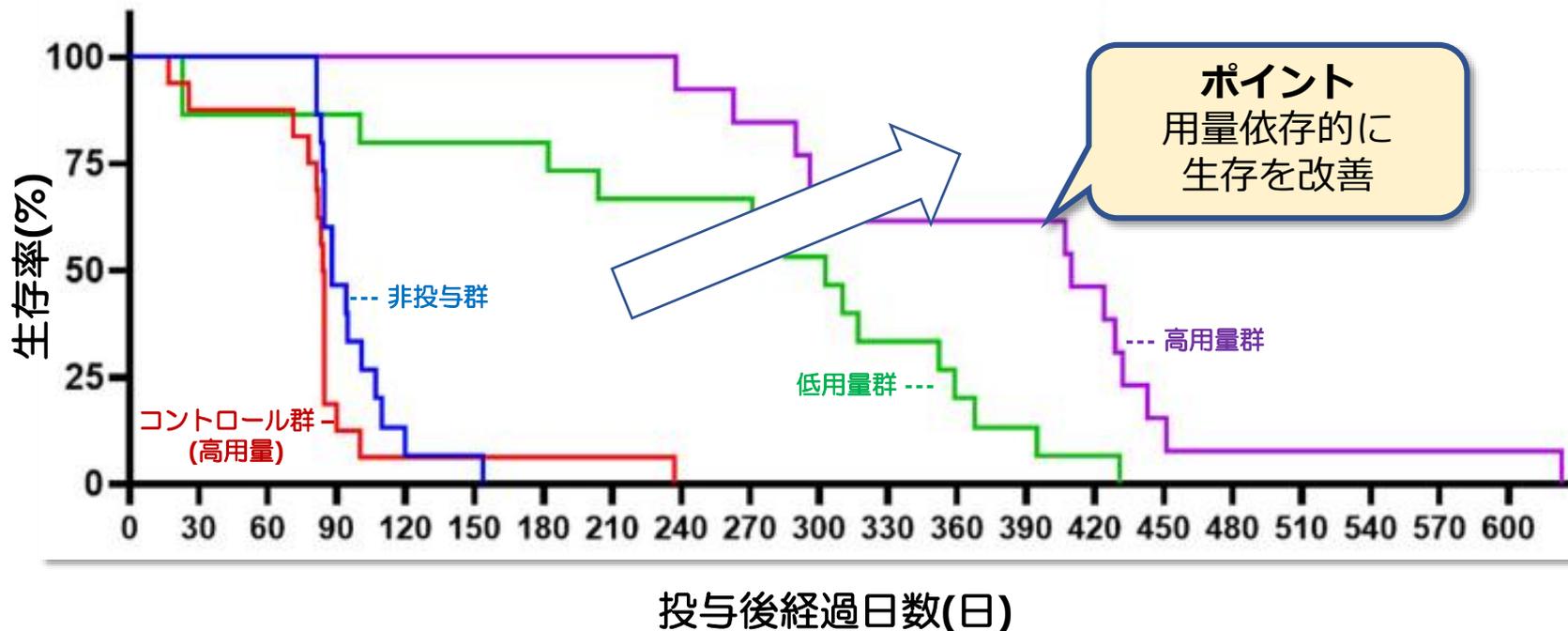


ポイント
スポットではなく
ムラ無く発現



MDL-101の投与によって、生存率は大幅に改善

病態モデルマウスの生存曲線



サルで示されたLAMA1上昇は臨床における薬効を示唆する

マウス病態レベルで機能改善が見られたレベルまでのLAMA1上昇をサルで確認



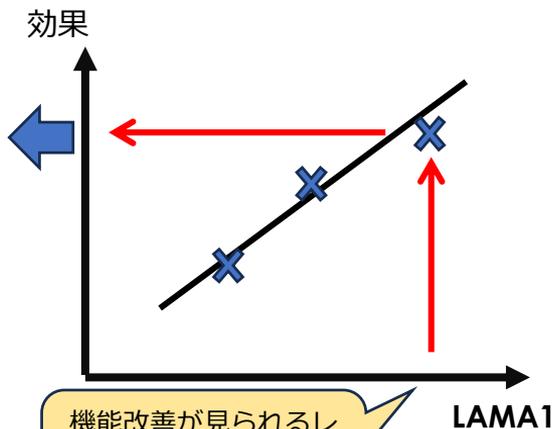
病態モデル



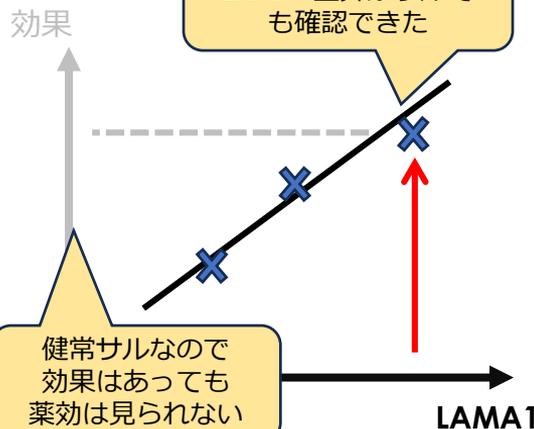
健常サル



患者さん

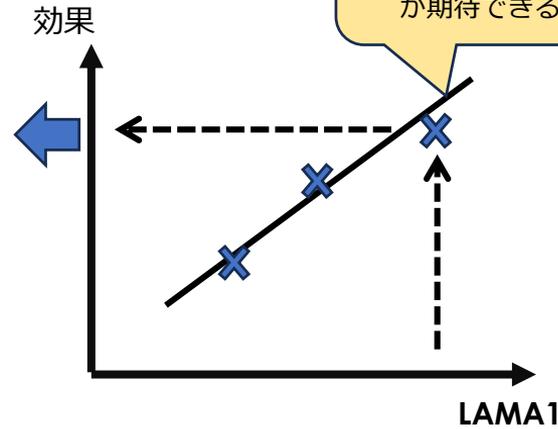


機能改善が見られるレベルのLAMA1上昇値が確認された。



健常サルなので効果はあっても薬効は見られない

同等なレベルのLAMA1上昇がサルでも確認できた



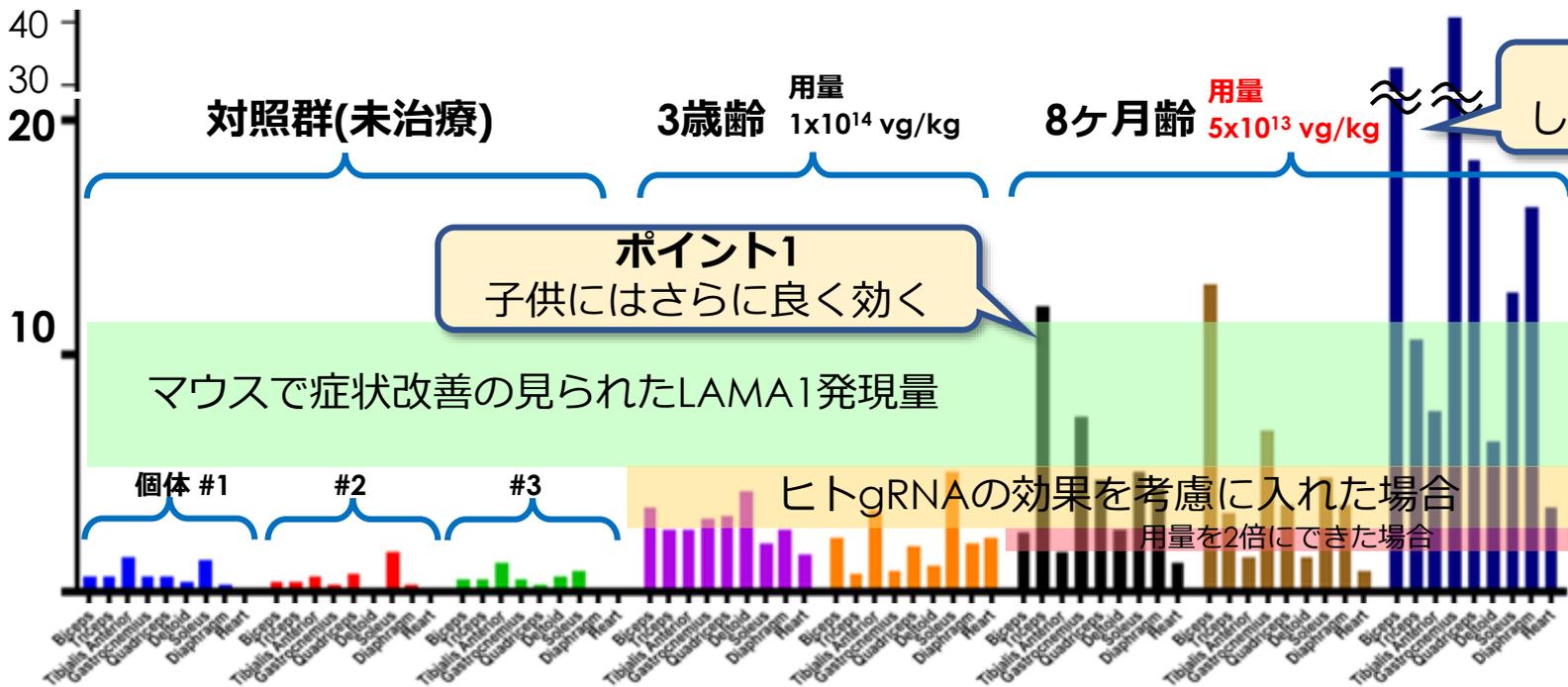
もし同じレベルまでLAMA1が患者でも上がれば、薬効が期待できる



サルにおいて、症状改善が見られるレベル以上のLAMA1発現を確認

健康サルのLAMA2に対するLAMA1の引き上げ効果

LAMA2に対するLAMA1の発現比率(%)



ポイント1
子供にはさらに良く効く

ポイント2
しかも半分量で

ヒトバージョンはサルバージョンの2倍の効果が認められている

2回のカンファレンスでMDL-101の前臨床データを中心に報告



6月11-12日にBoston MAで開催



7月8-10日にBoston MAで開催



21 JUNE 2024 / Medical knowledge

Modalis Therapeutics advances a novel gene therapy for LAMA2-CMD

Modalis Therapeutics has made significant strides in developing a gene therapy technology aimed at treating LAMA2-congenital muscular dystrophy (LAMA2-CMD).

Earlier this year, the [company](#) released promising [preclinical findings](#) based on studies conducted in mice and non-human primates (monkeys). These studies have demonstrated the potential efficacy and safety of their approach, marking a pivotal step towards potential future clinical trials in humans.

Breakthrough Preclinical Results

患者団体のサイトでも当社の取り組みが紹介

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

8月にも2つのカンファレンスで発表予定



口頭報告:

演題名: In-Process Stability Testing with Novel AAV Capsid Variants

日時: 2024年8月20日 12-12:30PM EST

セッション名: Gene Therapy CMC & Analytics: Potency Assays, In-Process Testing

報告予定の内容

筋肉特異的改変型 AAV ベクターを採用している MDL-101 の製造方法とその結果など



口頭報告:

演題名: Counter-balanced immune response against Cas9-mediated epigenetic modulation induces durable therapeutic efficacy

日時: 2024年8月22日 12PM EST

セッション名: Talking Immunogenicity For Gene Edited Product

報告予定の内容

MDL-101 (CRISPR を用いたエピゲノム編集技術)の免疫応答の忍容性、および持続的な治療効果を示すデータなど

論文の反響

- 製薬会社やバイオテック企業から提携に関する複数の問い合わせ
- 臨床試験参加の可能性についての問い合わせが世界各国から増加
 - 右の写真は、今年の1月にインドで生まれた女の子。生後間もなく筋力低下を認められ、遺伝子診断の結果、LAMA2-CMDと判明 (ご両親の承諾を取って掲載)



GENIXCURE社はAIを用いたAAV探索プラットフォームを有する韓国企業

GENIXCURE

AIを用いた改変型AAV探索プラットフォームCARE™ (Cell-specific AAV Research Engine)を独自開発



1. AAV遺伝子治療薬開発
 - CNS疾患 (ALS, Lafora病、認知症等)
2. AAV受託製造事業
 - 製造、精製、解析のワンストップサービス

InsightMiner™: Hongik Univ.
Prof. Park Joon 開発のAIシステム



Baby unicorn選出(2024/6)
By The Ministry of SMEs and Startups

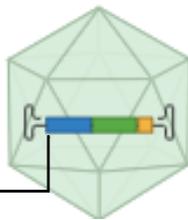


2024 Top Cell&Gene
Tx company in APAC
by Lifescience Review

MDL-104にGENIXCURE社の次世代送達技術を組み合わせるとことで、より高い選択性と薬効を示し、低侵襲を実現する革新的なアルツハイマー病治療薬の共同開発を目指す

MODALIS

ペイロード
MDL-104



GENIXCURE

改変型AAVキャプシド
XOB-031等

- 脳内の神経細胞内タウタンパク質の高い発現抑制を示すベストインクラスの分子
- 神経特異的プロモーター使用
- ICV投与
- ヒト化疾患モデルマウスで実証済
- 神経細胞特異的キャプシド
- 高い形質導入効率
- 肝臓デターゲティング
- IV投与の可能性（BBB透過）

広がる提携ネットワーク



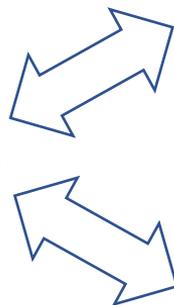
合成生物学のリーディング企業&
世界最大級のバイオフィアウンドリー



新規キャプシド技術



希少疾患領域の
スペシャリティーファーマ



GENIXCURE

AI-ベースの新規キャプシド技術を
有する新興バイオテック

自社モデルパイプライン

MDL-101 : 臨床入りを最速で実現すべく開発を行いながら、並行してパートナーリング実現に向けてパートナー候補の製薬会社と交渉中。

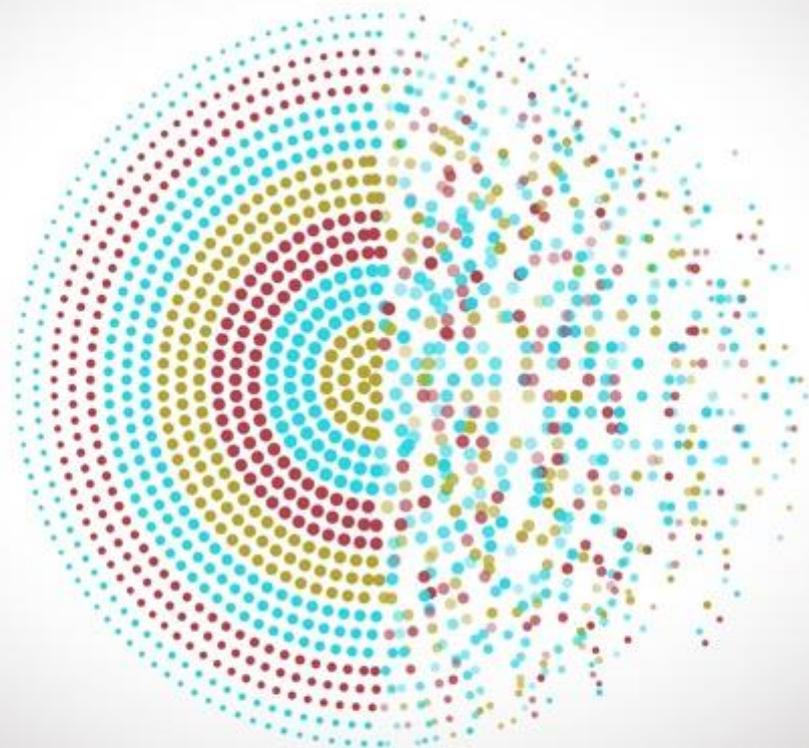
MDL-201, 202 : 新型バージョンで追加のデータ取得を行い、早期のパートナーリングを実現を模索。

MDL-104: Genixcure社との共同研究開発の覚書締結

その他のプログラム : 自社にて研究開発を継続中。知財整備、開発データの取得など然るべき段階になったらパートナーリングを進めて行く予定。

MDL-201、202 関連の特許が中 国で査定、登録

- UTRN特許、中国で査定(6月)
 - METHOD FOR TREATING MUSCULAR DYSTROPHY BY TARGETING UTROPHIN GENE
中国特許出願
No.201980075173.0
- DMPK特許、中国で登録(6月)
 - METHOD FOR TREATING MUSCULAR DYSTROPHY BY TARGETING DMPK GENE
CN113785066B



主な進捗と今後予定されるマイルストーン

	これまでの進捗	今後予定されるマイルストーン
MDL-101 LAMA2-CMD	<ul style="list-style-type: none">マウス病態モデルでのPoCサルにおけるターゲットエンゲージメントPre-IND実施製造プロセスの確立Data presentation (June and July)	<ul style="list-style-type: none">Data presentation (Aug x2)ODD and RPDDGLP-ToxGMP製造IND
その他	<ul style="list-style-type: none">動物モデルにおけるPoCを確立<ul style="list-style-type: none">MDL-201 (DMD)MDL-104 (タウオパチー)MDL-205 (エンジェルマン症候群)MDL-207 (ドラベ症候群)MDL-103 (FSHD)MDL-105 (DCM)JCRとの共同研究Ginkgo Bioworksとの提携GenixCure社とのMOU締結	<ul style="list-style-type: none">新キャプシド版GNDMへの移行(MDL-201)中枢神経プログラムに最適なキャプシドの探索と投与ルートの検討パートナーリングによる開発資金の手当て動物モデルにおけるPoC確立研究の継続と次のマイルストーンの達成

2. Quarterly Financial update

2024年12月期 第2四半期 業績状況

(百万円)

	2023年12月期 第2四半期 (A)	2024年12月期 第2四半期 (B)	差異 (B) - (A)
事業収益	-	-	-
事業費用	1,044	838	△206
研究開発費	906	716	△190
販管費	138	122	△16
営業利益	△1,044	△838	△206
経常利益	△995	△780	215
当期純利益	△1,033	△781	252

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）
- MDL-202を含む自社モデルパイプラインの研究開発費（主に、人件費、試薬等の研究材料費、家賃）

特別損失

- 固定資産の減損損失が減少したことに伴い当期純利益が増加

2024年12月期 第2四半期 財務状況

(百万円)

	2023年12月期末 (A)	2024年12月期 第2四半期 (B)	差異 (B)-(A)
流動資産	1,956	1,332	△623
現金及び預金	1,883	1,278	△605
固定資産	69	77	7
資産合計	2,025	1,409	△616
流動負債	198	103	△95
固定負債	447	193	△254
負債合計	645	297	△349
純資産合計	1,380	1,112	△267
負債純資産合計	2,025	1,409	△616
自己資本比率	66.8%	77.9%	

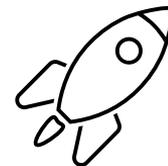
NOTE

- ・ 転換社債型新株予約権付社債の転換により、固定負債減少(250百万円)

3. 成長戦略

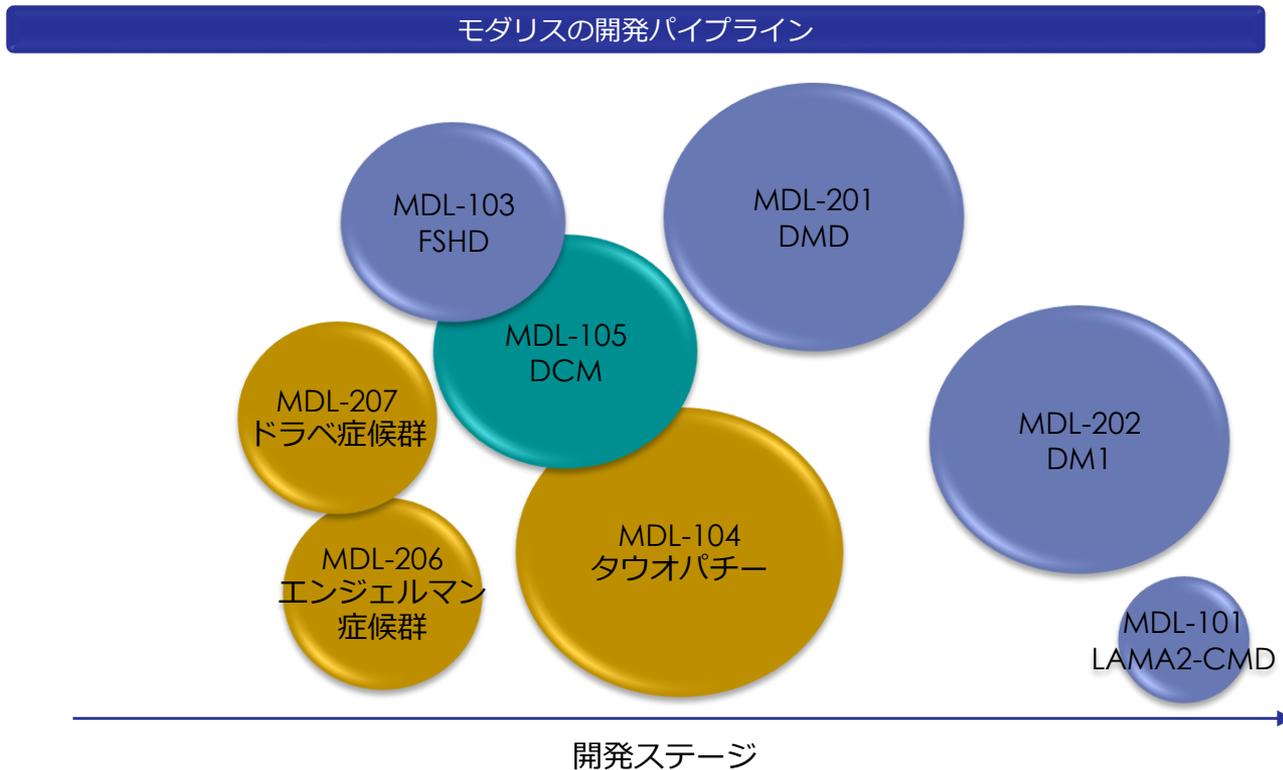


3段階のミッションを持ったパイプライン群で可能性を最大化



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、202などの大型パイプラインが追いかける



※ 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

資金調達の狙い



次の価値変曲点
までの資金確保

- バイOTEック業界のパートナーリングハードルが上がった結果、P2あるいはPoC以降が前提条件になった。
 - 2023年のデータによれば、P3ステージにあるアセットのうち、わずか9.1%がパートナーリング*
- PoCまで到達する資金の安定確保が、バイオ氷河期を越冬するための重要なポイント
- 逆に、PoCまで自力で実現できた場合、自社販売(=より高い利益率の可能性)も射程圏に

本資金調達の概要

	第2回無担保転換社債型新株予約権付社債 (転換価額修正条項付)	第14回新株予約権 (行使価額修正条項付)	第15回新株予約権 (行使価額修正条項付)
割当予定先	EVO FUND		
調達予定金額	7.00億円	16.35億円(@101円)	7.45億円(@101円)
発行決議日	2024年8月7日		
条件決定日	2024年8月6日		
割当日	2024年8月23日		
年限	2年	5年	5年
償還価額	100.0円	-	-
利率	0% (ゼロ・クーポン)	-	-
当初転換・行使価額 ⁽¹⁾	93.4円		101円
転換・行使価額の修正	1取引日毎に直前取引日における 終値×92.5%に修正		3取引日毎に直前3取引日における 終値平均値×100%に修正 (直前取引日終値×90%が下限)
下限転換・行使価額	50.5円		
潜在株式数	7,494,640 - 13,861,360株	17,500,000株	7,500,000株
希薄化率 ⁽²⁾	19.0% - 35.1%	44.3%	19.0%
合計希薄化率 ⁽²⁾	82.4% - 98.5%		
付帯条項	コール条項：なし	コール条項：発行会社と割当先の合意による	コール条項：転換社債が存在していない場合、コール可能
	プット条項：株価が下限転換価額以下となった場合その日以降いつでも早期償還を請求することが可能	-	-
	社債の転換については、発行金額の半数まではEVOの裁量で転換が可能。 半数転換以降は、新株予約権の行使金額の累計額を上限として転換が可能。		

(1) 当初転換・行使価額は、2024年8月6日時点の当社普通株式の終値を基準としております。

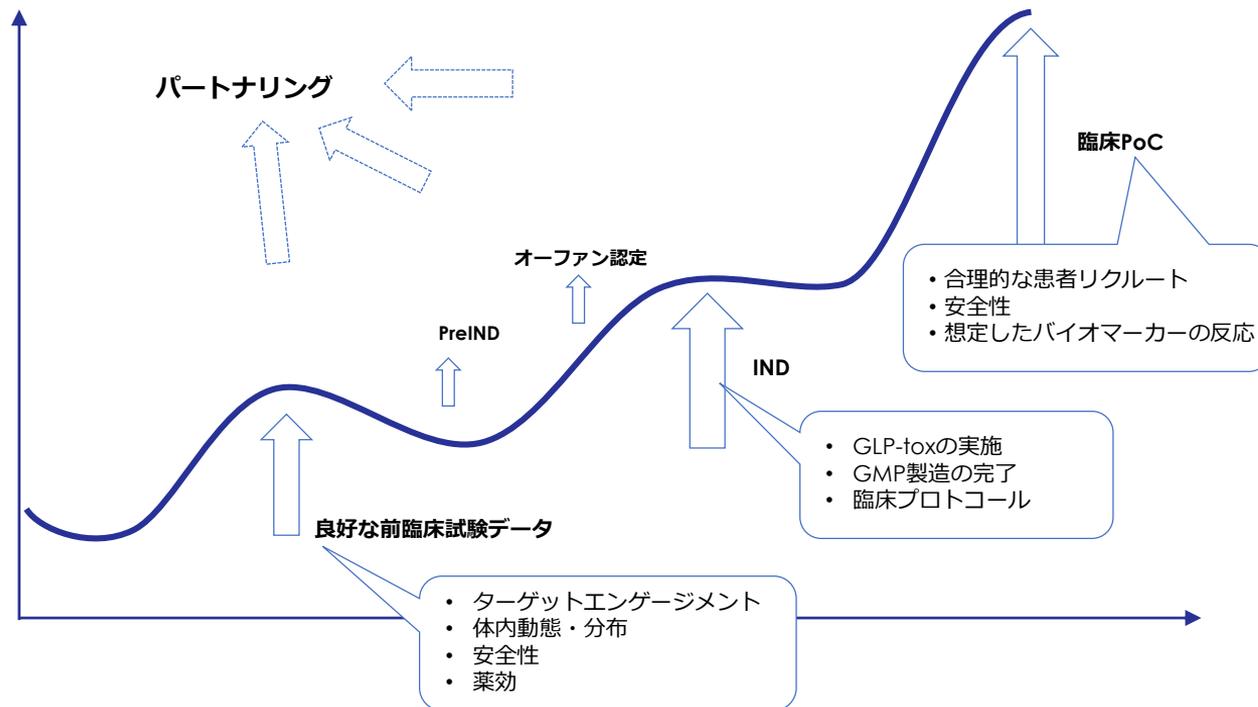
(2) 希薄化率は、2024年6月30日時点の当社発行済株式数に対する比率を前提として記載しております。

今回の資金調達スキームのポイント

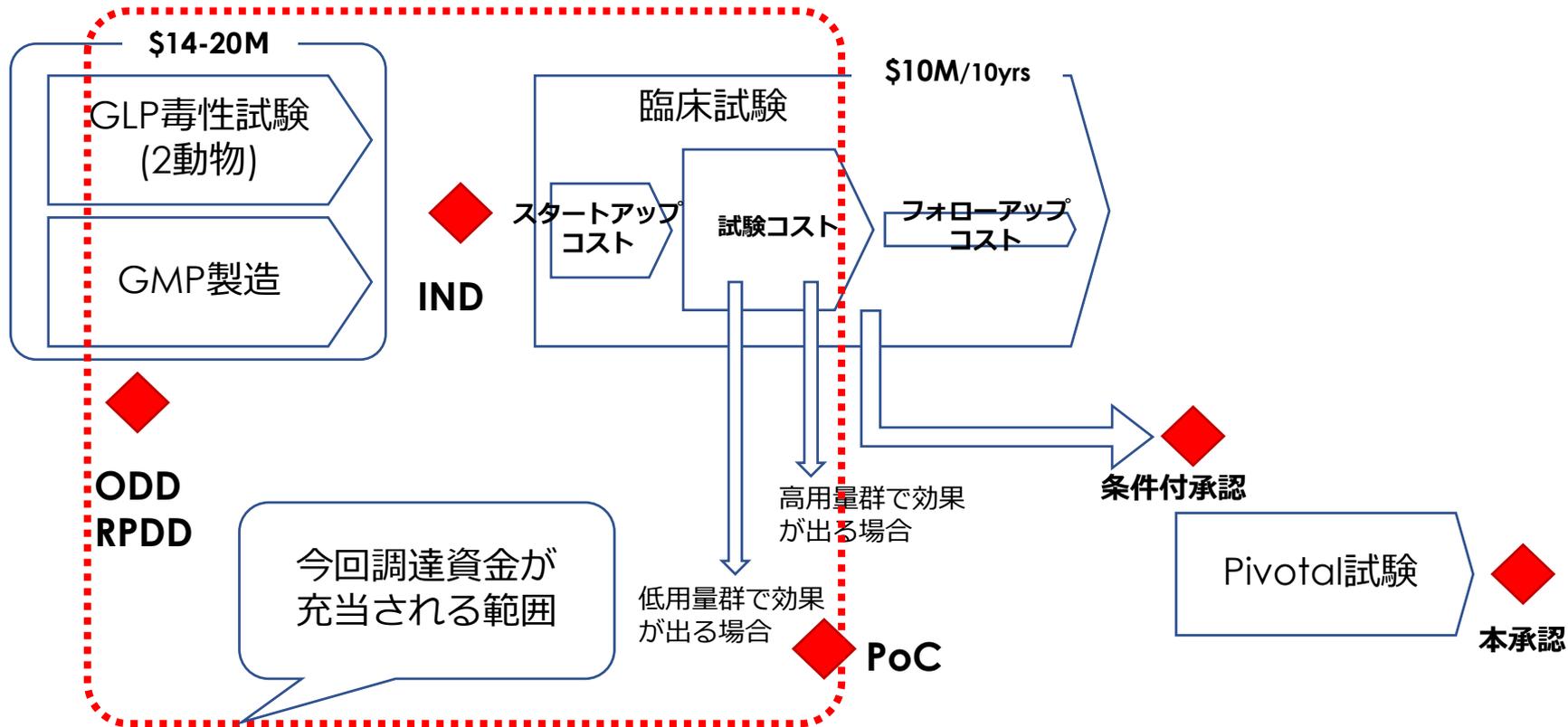
- 社債の発行によって7億円が先に入金される
→ 開発を進める資金を先行して入手可能なので、開発が加速できる
- 社債の転換が半分まで進んだ時点以降では、新株予約権の行使>社債の転換の比率で行使が進行する
→ それ以降は調達も並行して進む
- 2nd トランチはキャンセル可能
→ 目標調達額を1st トランチまでで達成した場合、あるいは別の資金手当ができた場合には2nd トランチはキャンセル可能→ 不要な希薄化を回避可能

バイオテック企業の一般的な価値変曲点(バリューインフレクションポイント)

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



MDL-101のバリューインフレクションポイントと到達までに必要となる資金



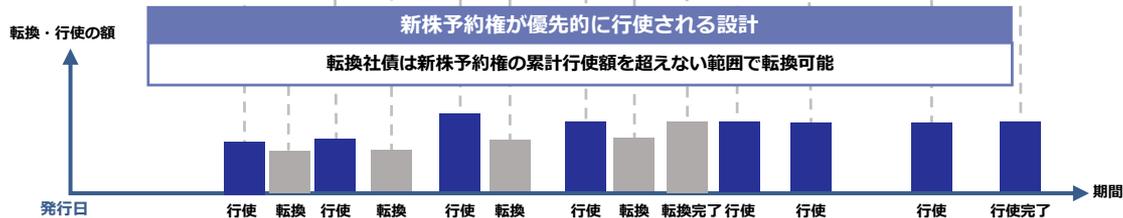
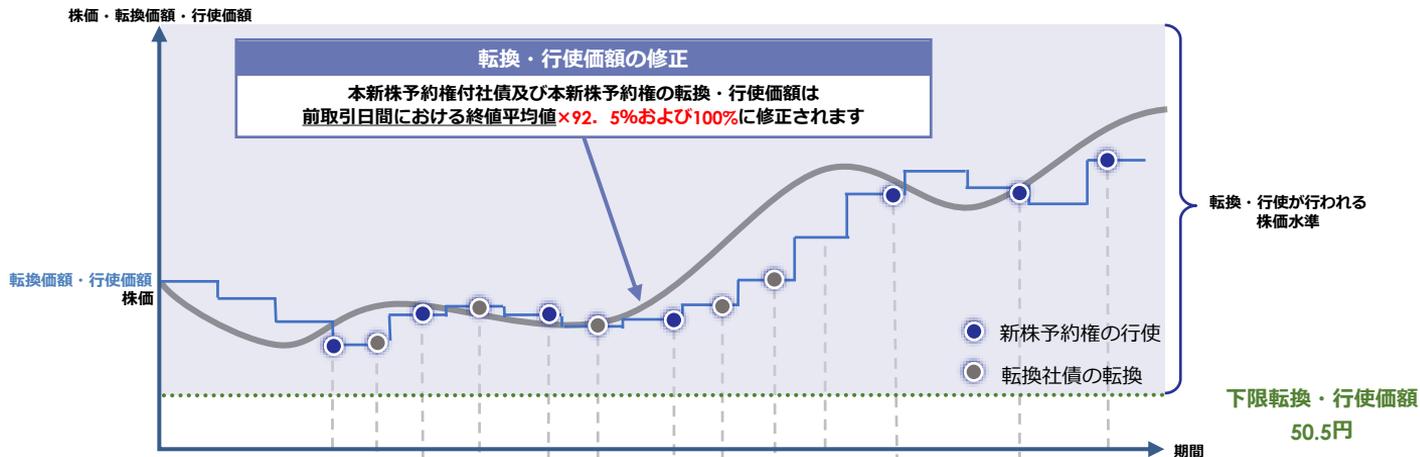
注) 資金需要は主にドルで発生するためにドルで記載しており、日本円相当額は為替によって変動する可能性があります。

ファイナンスの資金使途

No.	具体的な資金使途	金額（百万円）	支出予定時期
1	自社パイプライン（主にMDL-101を対象とした）の研究開発費（人件費を除く）	2,335	2024年9月～2027年8月
2	研究開発を推進する研究員の人件費及び採用費	700	2024年9月～2027年8月
3	社債償還資金（第1回無担保転換社債型新株予約権付社債）	38	2024年8月
	合計	3,073	

本資金調達の実行進捗イメージ

転換社債と新株予約権を同時発行
 転換社債によりアップフロントで資金を調達、新株予約権により段階的に資金を追加調達



※ 上図はイメージであり、実際の当社株価推移及び転換・行使のタイミングを予想若しくは保証するものではありません。



3. まとめ

2024 2Q決算のキーポイント

1. MODALISはリードプログラムであり、技術のショーケースであるMDL-101の開発を継続して推進している
 - **薬効、毒性、製造**に課題は無く、粛々とIND enabling試験とGMP製造を進められる状況にある。
 - リソースの再編に伴い、INDのタイミングを2025年に後退させたが、直近でファイリングした**ODDおよびRPDD**の承認が数ヶ月内に実現する見通しであり、開発を今後も強力に推進する。
2. MDL-201, 202, 104を含む後続のパイプラインには、より**大きな市場規模**が期待され、また先行品の課題を解決し、それぞれ**ベスト・イン・クラス**の製品になる可能性がある。
3. こうした開発を安定的に継続し、企業価値を向上させるための前向きな資金として、新たな資金調達を行う。これによってMDL-101を**次の価値変曲点**へ持ち上げられると考える。



4. Q&A

Q1: JCR社提携とGenixcure社とのCNS領域における棲み分けはどうなっていますか？

JCR社提携においては、対象疾患&パイプラインは非開示ですが、GENIXCURE社提携の対象であるタウオパチーとは異なる対象疾患&パイプラインです。

また、JCR社、GENIXCURE社のいずれもCNS疾患を対象に神経細胞特異的キャプシドを開発しているが、両社の改変戦略は異なります。

当社は対象疾患&パイプラインに応じて、薬効、安全性そしてより患者さんの負担軽減につながる最適な投与ルートを実現する最適な改変型AAVキャプシドを選択することを狙っており、両社との提携はいずれもその選択を制限するものではなく、いずれも非排他的な契約です。

Q2: 大規模な割当によって、EVO社に経営権のコントロールをされませんか？

EVO社は社債の転換あるいは新株予約権の行使によって取得した株式を長期保有のスタンスにないことを確認しております。また、EVO社との契約により、ある株数以上の保有をEVO社は継続してできないことになっており、またEVO社もその意向にありません。

なお、大量保有報告にあるEVO社が保有する株式数のうち200万株は、代表取締役CEOの資産管理会社から貸株契約によって貸し出された株式で、総会決議などを含め、資産管理会社の意向に従って行動することが義務づけられています。

Q3: 為替差益がでていますが、これはどうしてですか？

- 当社は研究開発を全て米国法人の子会社で行っており、日本法人からその資金を提供し、対価として知財などの成果を日本法人に集約しています。
- 研究をするにあたっては、資金が必要となりますが、貸付金の形で、先に資金を米国法人に送金していますが、本年7月まで継続した円安環境下においては、米ドルに転換して保有した貸付金が経理上の為替差益を産んでいる形になっており、これを計上しています。