



2023年6月26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 Pre-IND に関する FDA のポジティブな返答受領に関するお知らせ

当社は、2023年6月23日（米国時間）にアメリカ食品医薬品局（FDA: Food and Drug Administration）より、当社が行なった MDL-101 の Pre-IND（Type B）の申請に対する返答を受領しましたのでお知らせいたします。

当社は、齧歯類及び非ヒト霊長類における検証やパイロット製造による製造検討などにおける良好な結果を経て、臨床試験に向かって更に開発を進めるべく、米国の規制当局である FDA の Center for Biologics Evaluation and Research (CBER) に対して Pre-IND ミーティングの申請を今年初めに行っておりました。Pre-IND は臨床試験に至るまでの重要なステップであり、今後臨床試験までに当社が計画している試験、治験のデザイン、治験薬および製造上のハードル、品質などが当局の考え方に合致しているかを質問の形で確認することになります。

今回受領した FDA の返答は、当社がこれまでに計画してきた開発計画に大幅な変更を加えることなく 2024 年中の IND 申請に向けて開発を進められることを強く確認することになりました。本返答は、当社の開発計画における各論点について詳細な確認をする機会であったわけですが、主要なポイントについては当社の想定が当局の考えにほぼ沿っていることが確認でき、また IND までに施すべき微調整が明らかになったことは、当社にとって大きな成果であったと考えます。さらには、プラットフォームを共有する他のパイプライン、特に筋肉疾患パイプラインに対して外挿可能な示唆を多く含んでおり、後続のプログラムをよりスムーズに進めることができるようになったと考えます。当社が今後計画する第 1/2 相臨床試験は、当社の CRISPR-GNDM® 技術によるアプローチの安全性とともに、LAMA2-CMD 治療に対する重要な洞察を提供するはずであると考えます。

本件に関して、現時点で 2023 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。

以上

Pre-IND について:

<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/otat-pre-ind-meetings>

MDL-101 について:

MDL-101 は、先天性筋ジストロフィー1A型（LAMA2-CMD）に対して開発を行っている当社の遺伝子治療薬で、患者さんにおいて変異のある LAMA2 遺伝子に代わって姉妹遺伝子の LAMA1 を CRISPR-GNDM® を用いた発現誘導によって補完し、治療を行うものです。LAMA2 遺伝子は筋肉の機能に関わるタンパクをコードしており、ここに変異があると筋肉は正常に機能しなくなり、重篤な障害が幼少期から現れます。この LAMA1 及び LAMA2 遺伝子は 9kb を越えるサイズの大きい遺伝子で、通常の遺伝子治療では AAV の搭載サイズを遙かに超え、対応できません。またゲノム編集を行うにも、変異の箇所が患者さん毎に異なるため、1つの遺伝子治療で全ての患者さんをカバーすることが難しく、対応が困難であると考えられています。従って CRISPR-GNDM® による治療が、現状では唯一の合理的な方法であり、当社技術の利点を最大限に活かせる対象疾患であると考えています。