



2025年7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 中島 陽介
(TEL. 03-6231-0456)

モダリス、ブロード研より筋肉指向性 AAV キャプシドのライセンス取得に関するお知らせ

株式会社モダリス（代表取締役 CEO：森田 晴彦、以下「モダリス」）は、ブロード研との間で、筋肉組織への高い指向性を有するアデノ随伴ウイルス(AAV) キャプシドの使用に関するライセンス契約を締結したことをご報告いたします。

本契約により、当社はブロード研の革新的な筋肉指向性キャプシドである MYOAAV を現在開発中のリードプログラム MDL-101（標的疾患：LAMA2 関連先天性筋ジストロフィー/LAMA2-CMD）に対して使用する権利を取得することになります。

この MYOAAV キャプシドは、当社の行った前臨床の各種動物試験において、全身の筋肉組織への高い送達効率と体内分布、さらに非ターゲット組織への移行回避によって、優れた薬効と安全性が確認されています。

さらに、当社は当該キャプシドの製造法を独自に確立し、高い生産性、品質と再現性を実現しています。現在、IND 申請に向けたマウス試験、GLP 準拠の毒性試験、および GM 製造体制の構築を着実に進めており、臨床試験開始に向けて準備を整えています。

本開発品のターゲットである LAMA2-CMD は、LAMA2 タンパク質の欠損によって引き起こされる重篤な先天性筋ジストロフィーです。疾患の原因となる LAMA2 タンパク質は 3,000 アミノ酸を超える大きなタンパク質であるため、AAV ベクターには搭載不可能で、一般的な遺伝子治療による開発アプローチは困難だと考えられています。そのため、遺伝子治療を含めて LAMA2-CMD の根本的な原因に対処する治療法は現在ありません。

MDL-101 は、原因遺伝子である LAMA2 の欠損によって生じる筋肉での広範な障害を、モダリスが独自に開発した CRISPR-GNDM[®]による姉妹遺伝子 LAMA1 の筋肉組織全体における発現誘導を実現することによって、長期間にわたって失われた機能を補完する革新的治療薬になる可能性を秘めています。

モダリスの CEO の森田晴彦は、次のように述べています。「今回、ブロード研の革新的な MYOAAV キャプシドのライセンス取得により、当社のリードプログラム MDL-101 の技術基盤が大きく強化されました。私たちが有する CRISPR-GNDM[®]ペイロードと MYOAAV によるデリバリー技術を組み合わせることで、治療法がまだない LAMA2-CMD に対して有効な解決方法を実現することが可能になります。当社は患者様の期待に応えるべく、一日も早い治療薬の実現を目指して全力を尽くしてまいります。」

なお、先方との秘密保持契約によって契約の詳細は開示されませんが、開発や販売の進捗に伴うマイルストーンおよび売り上げに応じたロイヤリティの支払いが将来発生いたします。また今期の業績に与える影響は軽微です。

ブロード研について

ブロード研究所 (Broad Institute) は、世界をリードするゲノム研究およびバイオメディカル研究の機関であり、マサチューセッツ工科大学 (MIT) とハーバード大学の共同設立による非営利研究所です。最先端のゲノム科学と創薬技術を融合させ、希少疾患やがん、感染症など多岐にわたる疾病の解明と治療法の開発に取り組んでいます。今回ライセンスを取得した筋肉指向性 AAV キャプシド技術も、同研究所の高い技術力と豊富な研究成果に裏打ちされた革新的なバイオベクター技術の一つです。詳細については、ブロード研のウェブサイトをご覧ください。(<https://www.broadinstitute.org/>)

株式会社モダリスについて

株式会社モダリス (TSE : 4883) は 2016 年設立、米国マサチューセッツ州に研究開発拠点をもち、CRISPR を用いたエピゲノム編集技術による治療薬開発のリーディングカンパニーです。当社の拡張性の高いプラットフォーム技術をもとに、筋肉疾患、CNS 疾患および心筋症等、深刻な遺伝子疾患に苦しむ患者さんのための治療薬を開発しています。詳細については、当社のホームページをご覧ください。(www.modalistx.com/jp/)

以上