

2026年12月期 第1四半期決算説明資料

The switch



is the Key

株式会社モダリス
(証券コード：4883)
2026年5月13日



本資料の取扱について

- 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。
- 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。当社は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[®]プラットフォームを構築

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等との継続的な対話を通じ、臨床開発戦略を構築

CRISPR-GNDM[®]

GNDMはエピゲノムを書き換えて、目的の遺伝子の発現量制御を行う

ガイドRNA=ポインター

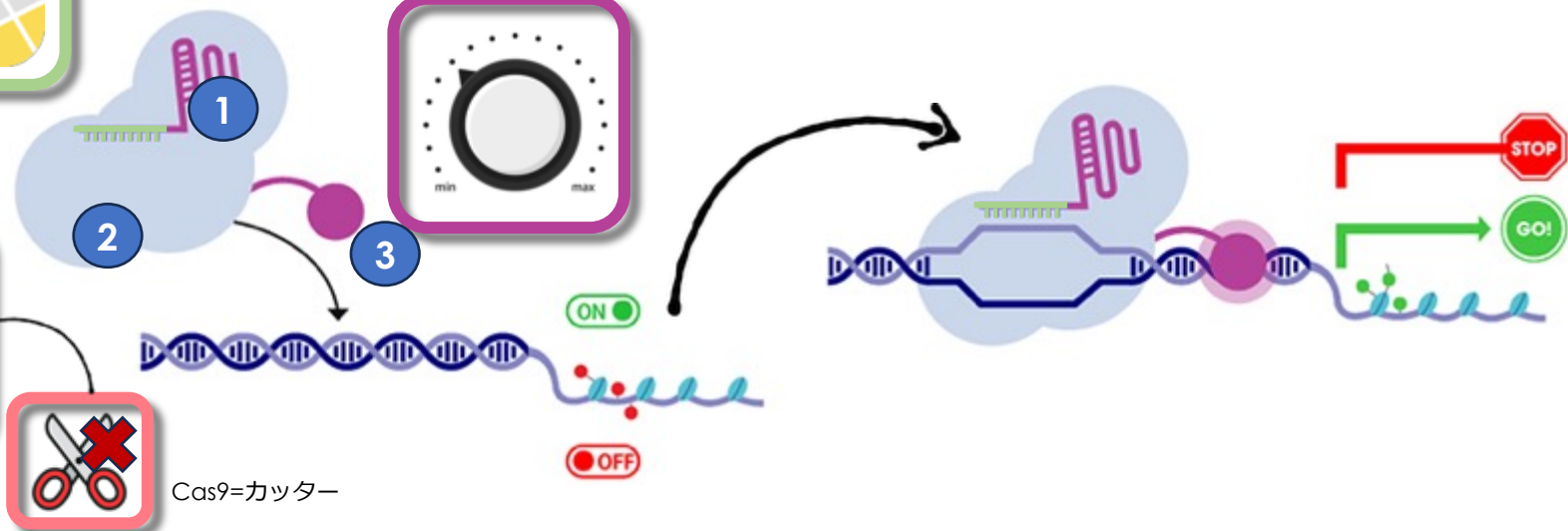


CRISPR-GNDM[®] (Guide Nucleotide-Directed Modulation)

エピゲノムエディター



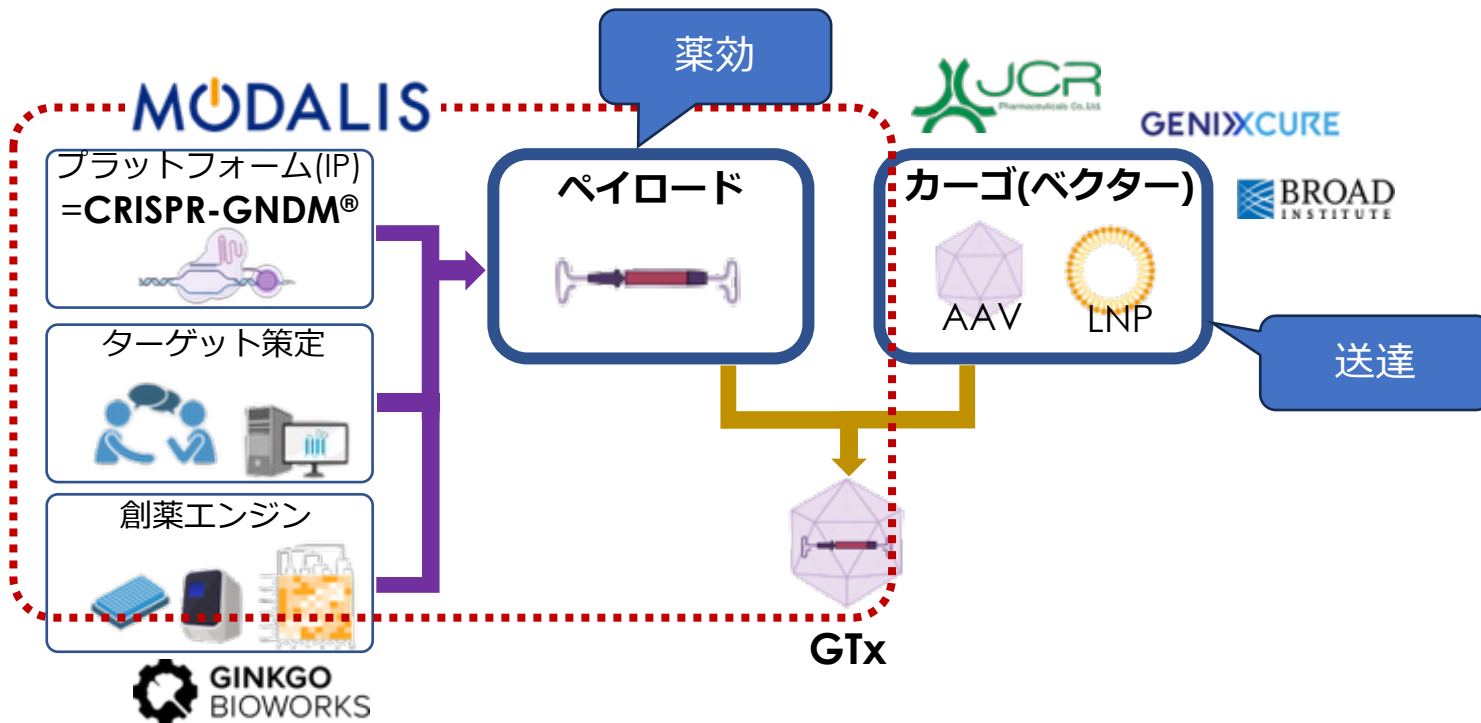
dCas9=バインダー



CRISPR-GNDM[®] は①位置決めをする「ガイドRNA(gRNA)」、②DNAへの結合デバイスである「dCas9」、③エピゲノムの編集を行う「エディター」で構成され、遺伝子の発現のオン・オフを自由に制御する

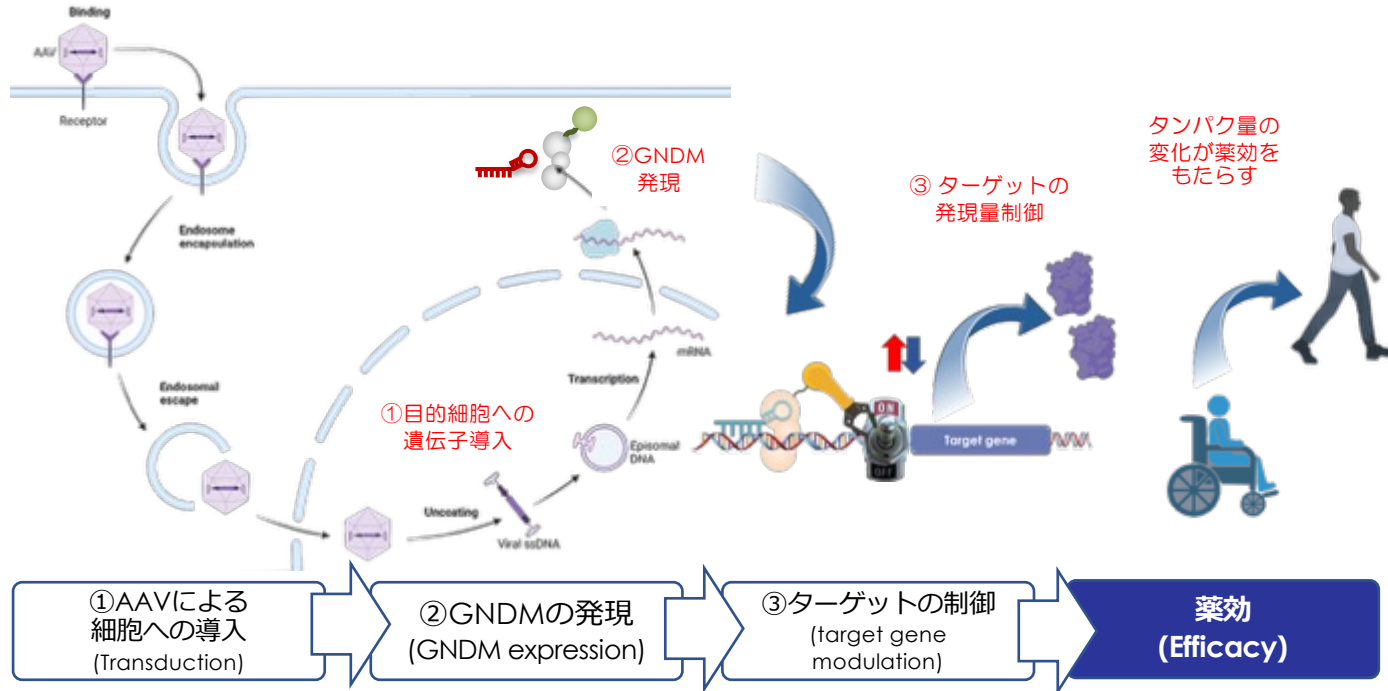
モダリスのコアコンピタンスと協業の状況

遺伝子治療のためには薬効の本体であるペイロードとそれを目的組織に運ぶカーゴ(ベクター)が重要



薬剤投与から薬効までの3段階

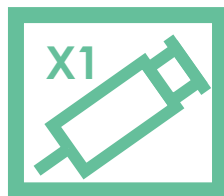
AAVが細胞にGNDMを運び、タンパクとして読み出されたGNDMが目的遺伝子を制御する



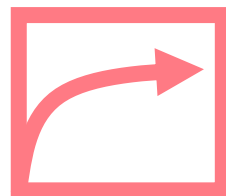
CRISPR-GNDM[®] は新しい治療コンセプトとして期待される技術

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
治療を目指す

遺伝子治療薬の承認状況

2026年2番目の承認がOtarmeniにもたらされた

USで承認されたin vivo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	Roche(Spark)	10万人に2人	\$65M
ZOLGENSMA	2018	\$2.1M	SMA ^{*1}	Novartis(Avexis)	新生児1.5万人に1人 数百~1千人/yrの新規患者が潜在	~\$1B ^{#1}
HEMGENIX	2022	\$3.5M	血友病B	uniQure/CSL Behring	3万人の男性に1人	\$3.2B
Vyjuvek	2023	\$631k/患者・年	DEB ^{*2}	Krystal	100万人に3.5~20.4人	~\$200M
ROCTAVIAN		\$2.9M	血友病A	BioMarin	5千人の男性に1人	\$11B
beqvez	2024	\$3.5M	血友病B	pfizer	3万人の男性に1人	\$3.2B
ELEVIDYS		\$3.2M	DMD ^{*3}	Sarepta	3500人の男子新生児に1人	\$4.1B
Itivisma	2025	\$2.6M	SMA	Novartis	Zolgensmaを2歳以上に適応拡大 数千~1万人	~\$10B ^{#2}
Kresladi	2026	\$2~3M [?]	LAD-I ^{*4}	Rocket	1 in million (25 pts/yr・WW)	\$25M~50M
Otarmeni		TBD	遺伝性難聴	Regeneron	米国で1年に50人の新生児	\$130 million

新たに承認

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: severe leukocyte adhesion deficiency type I (重症白血球接着不全症1型) #1: 患者数を500人として推定 #2: 患者数を5000人として推定

エピゲノム編集の競合環境

新規参入もあり競争は激化。だが活性化は依然としてモダリスだけ

企業	設立年	投資ステージ	プラットフォーム	リードプログラム/対象疾患	開発ステージ
MODALIS	2016	公開	CRISPR-GNDM x AAV	MDL-101/LAMA2-CMD 遺伝子活性化	IND enabling試験中
Tune	2020	シリーズB (\$175M, 2025)	DNMT-KRAB 融合dCas9 x LNP	TUNE-401/B型肝炎 遺伝子抑制化	Clinical Ph1が香港、NZおよび モルドバでCTA承認
nChroma	2021	Chromaと Nvelopが合併 (Dec 2024)	DNMT-KRAB 融合dCas9 x LNP	CRMA-1001 PCSK9高コレステ ロール血症 遺伝子抑制化	P1/2
Epicrispr	2022	シリーズB (\$68M, 2025年)	DNMT融合Cas12f x AAVrh74	EPI-321/FSHD 遺伝子抑制化	P1/2
Epigenic	2022	シリーズB (\$60M, 2025)	dCas+editor x LNP	EPI-001 PCSK9高コレステロール血症 遺伝子抑制化	中国IIT
Scribe	2018	SerC? (\$75M, 2025)	dCas+repressor x LNP	STX1150 PCSK9高コレステロール血症 遺伝子抑制化	IND enabling
Mammoth	2017	Corp.Minority (\$95M 2024)	miniCas x editor x LNP	MB-111 APOC3 for高トリグリセリド血症 遺伝子抑制化	IND enabling



目次

1. 2026年1Qのトピック
2. 決算状況およびファイナンスについて
3. 成長戦略
4. まとめ
5. Q&A

1. 2026年第1四半期のトピック

01

MDL-101の開発状況と今後の見通しについて

02



その他のプログラムの開発状況

03

その他事業の状況

パイプラインの状況

MDL-101を中心とした神経筋疾患にフォーカスして開発

Code	疾患名 /疾患領域	モード	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
MDL-101	LAMA2-CMD*1	ON	Modalis	→			Muscular disorders	
MDL-202	DM1*2	OFF	Modalis	→				
MDL-201	DMD*3	ON	Modalis	→				
MDL-103	FSHD*4	OFF	Modalis	→				
MDL-105	DCM*5	ON	Modalis	→			Cardiovascular	
MDL-104	Tauopathy	OFF	Modalis	→			CNS disorders	
MDL-206	Angelman Syndrome	ON	Modalis	→				
MDL-207	Dravet Syndrome	ON	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

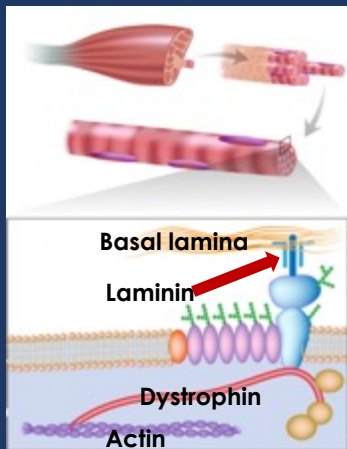
*5: Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

LAMA2-CMD (別名:CMD1A, 先天性筋ジストロフィー1A型)

LAMA2 遺伝子の変異によって生じる重篤な筋ジストロフィーの一種

MDL-101

LAMA2-CMDに対する
ファーストインクラスの治
療法



罹患率

100万人に8.3人*
USで2500人

発症

生後すぐ
あるいは数ヶ月内に著明

病態

思春期を超えて生きられない
場合が多い

- 重篤な筋力低下
- 筋緊張低下症
- 弱い自発的運動
- 関節変形
- 心不全、硬直

原因

LAMA2遺伝子の変異

市場規模

\$500M以上

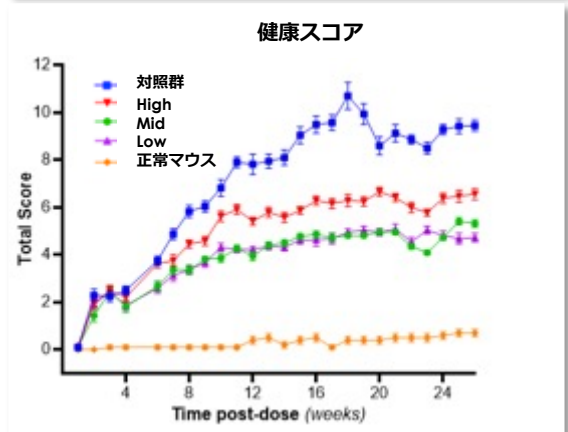
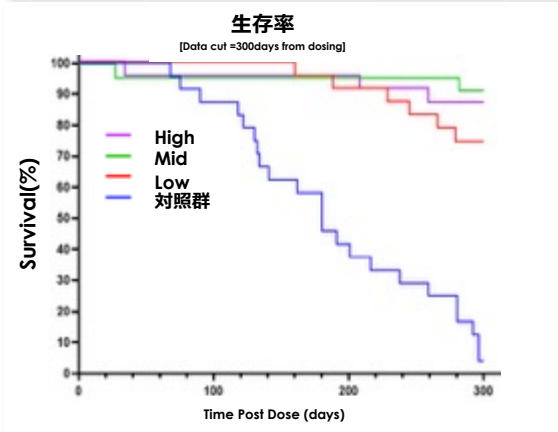
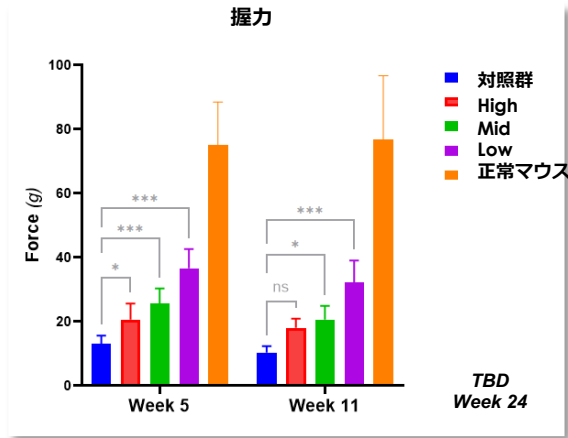
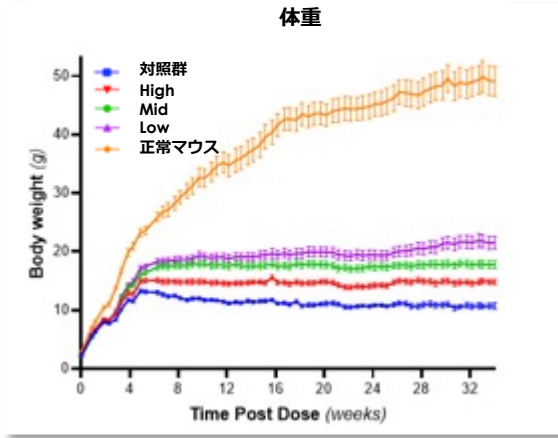


Source: *Estimating the Prevalence of LAMA2 Congenital Muscular Dystrophy using Population Genetic Databases (2023)



Updated

病態モデルマウスにおける体重、握力、生存曲線、ヘルススコアの改善 mMMDL-101投与によってLAMA2-RDの病態は著しく改善した



Mouse Health Deficit Assessment - Overview (9-parameter, 3 points scale)

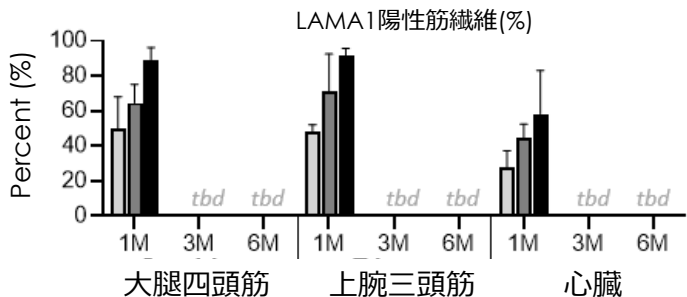
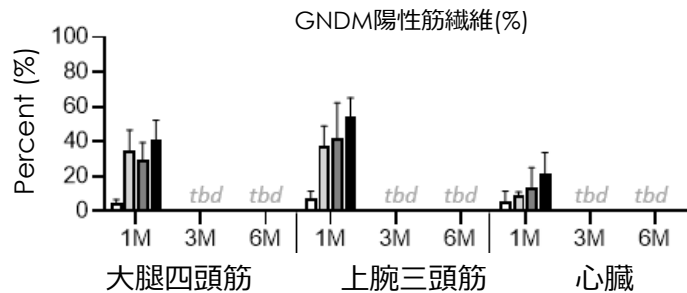
Parameter	Score			
	0	1	2	3
1 Activity	Normal	Mild deficit	Deficit	Severe deficit
2 Provoked behavior				
3 Locomotion				
4 Respiration				
5 Posture				
6 Body condition				
7 Fur and skin				
8 Eyes				
9 Tumors & infections				



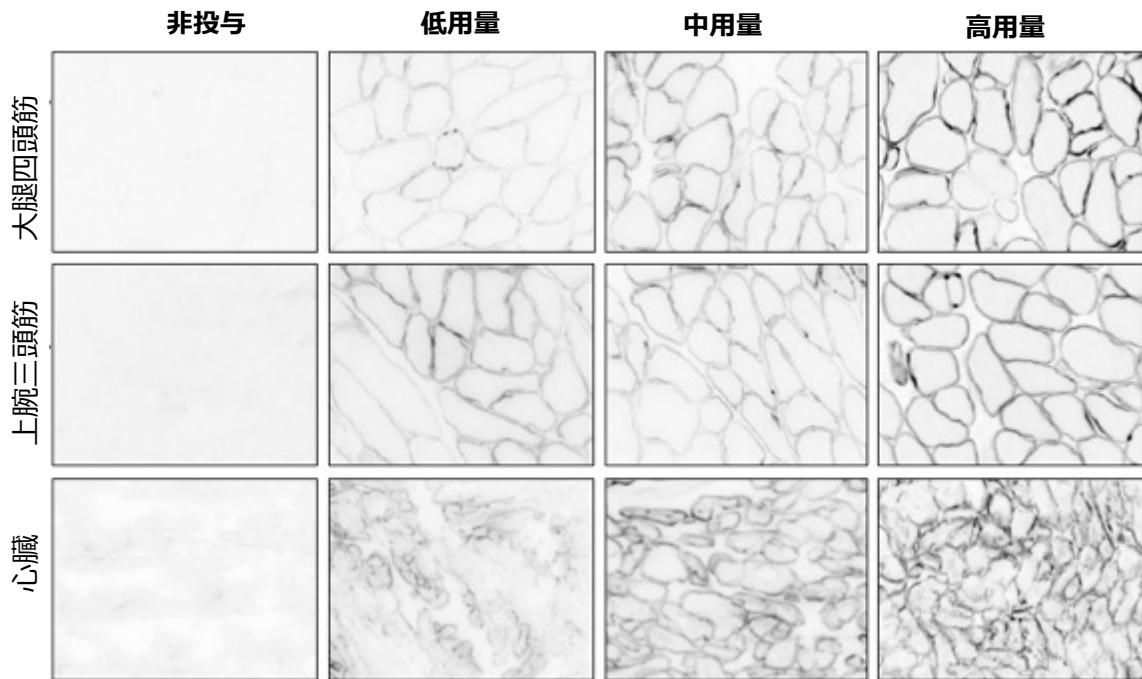
Updated

MDL-101によるLAMA1の発現分布

大腿四頭筋、上腕三頭筋、および心臓におけるLAMA1タンパク質の堅牢かつ用量依存的な誘導



非投与
 低用量
 中用量
 高用量

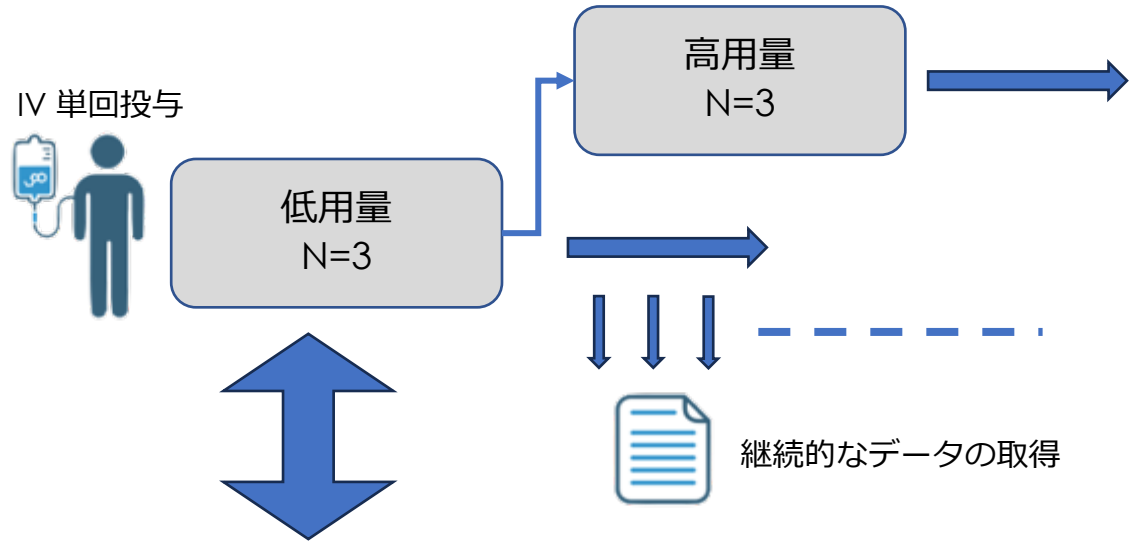


MDL-101-001 臨床試験のデザイン

2用量のオープンラベル試験。自然経過観察試験との比較で薬効を検討

フェーズ1/2 オープンラベル用量漸増試験の概要

- 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)との比較
(NCT06354790, NCT04299321, NCT06132750)

INDに向けた試験の進捗状況

MDL-101開発アップデート

• GLP毒性試験

- GLP毒性試験は進行中であり、現在、長期的な臨床成功確率の最大化に向けた追加解析および最適化検討を実施中。現時点において新たな重大な安全性シグナルは認識されていない。

• マウスIND enabling

- 試験は順調に進捗。継続解析においてコントロール群に対して顕著な生存回復効果と機能回復効果を病態モデルで示しており、本四半期中に問題無く終了する見通し。

• 製造

- AAV治験薬GMP製造活動進行中。

• 治験準備

- 治験サイトおよびPI選定中。
- 各種評価試験の準備中
- 臨床移行成功確率最大化に向けて開発タイムラインを再評価中



現在重点的に進めている項目

臨床移行に向けた"ラストワンマイル"

✓ 製造・品質評価の強化

- ・ 将来的な臨床開発および製品化を見据えた、製造プロセス・品質評価系の最適化

✓ 長期発現プロファイル解析

- ・ ターゲット組織における発現持続性および長期的薬効の詳細評価

✓ 投与戦略最適化

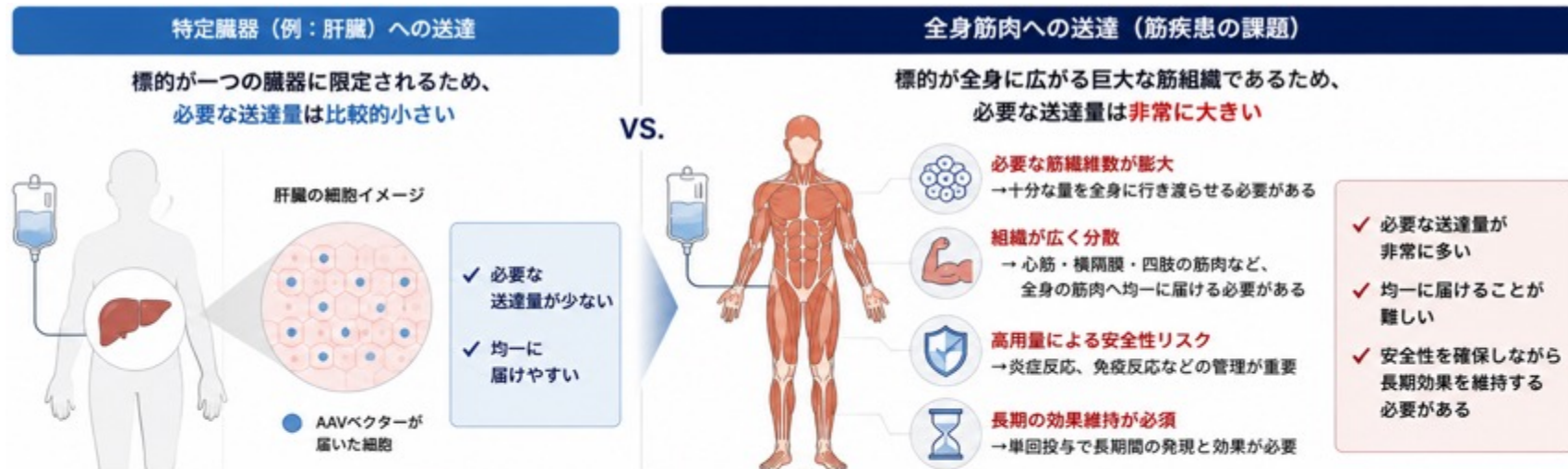
- ・ 臨床試験を見据えた投与条件や免疫抑制プロトコールの最適化

✓ 臨床移行準備

- ・ 治験実施施設との評価指標・測定タイミングの調整、および臨床試験オペレーション体制の構築

なぜ開発に時間がかかるのか？

特に筋肉疾患では「全身送達・長期発現・安全性の両立」が必要であり、高度な技術検証と最適化に時間を要する



💡 このため、開発にはより**高度な技術・検証・最適化**が必要となり、時間を要します

特に筋疾患治療で
必要な技術要素



全身の筋肉へ
十分に届ける送達力
(高効率・広範囲分布)



単回投与での
長期発現の安定性
(持続的な薬効)



高用量でも安全性を
確保する設計
(免疫・炎症管理)



効果を適切に測定・
評価する体制
(バイオマーカー・評価指標)

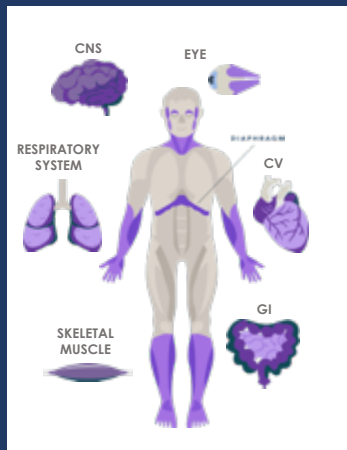
🎯 当社は、単なる“早期IND申請”ではなく、長期的な成功確率と製品価値最大化を重視した開発を進めています

筋強直性ジストロフィー1型 (DM1)

DMPK遺伝子の3'非翻訳領域にあるリピート配列の伸張

MDL-202

ファーストインクラスとなり得る治療



罹患率	1万人に約1~4.8人 (2300人に1人*)	DMは、ヨーロッパ系の成人において最も一般的な筋ジストロフィーである。
発症	患者により症状の重篤度や発症年齢は様々	発症年齢は 20~70歳 (典型的な発症は 40歳以降)
病態	筋力低下と萎縮、筋緊張症	DMは随意筋の筋力低下を引き起こすが、筋力低下の程度や最も影響を受ける筋肉は、DMの種類や障害者の年齢によって大きく異なる。
原因	DMPK 遺伝子の3'側 非翻訳領域の CTG 反復配列 が異常伸長	CTGリピートの伸張によりMBNL1タンパクが捕捉され、正常なスプライシングができなくなる
市場規模	\$2.2B# 2032年時予測	治療薬のない2022年時点で\$80M であるが、新薬の開発と共に成長が期待されている

*Source: Myotonic Disease Foundation # DelveInsight (DM1とDM2の両方を含む数字)

DM1の分子病態メカニズムと治療戦略

異常伸長したCUGリピートがDMPK遺伝子の機能を阻害し、筋肉の異常を引き起こす

DM1とは？

19番染色体のDMPK遺伝子にあるCUGリピートの異常伸長により、DM1（筋強直性ジストロフィー-1）が引き起こされる

何が起きているのか？

リピートの伸長により、DMPK遺伝子から作られるRNAに異常構造が形成され、MBNLタンパク質がスプライシングタンパク質としての機能を失う
→ 筋肉をはじめとするさまざまな臓器で機能異常が生じる

CUGリピートの長さで疾患の重症度（例）

50-150

軽度の
1型糖尿病など
と関連

50-1000

古典的なDM1
(成人発症型)
と関連

>800

「小児発症型」
1型糖尿病など
と関連

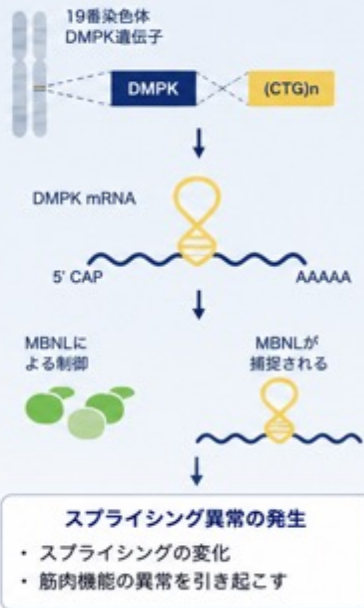
>1000

「先天性」DM1
と関連

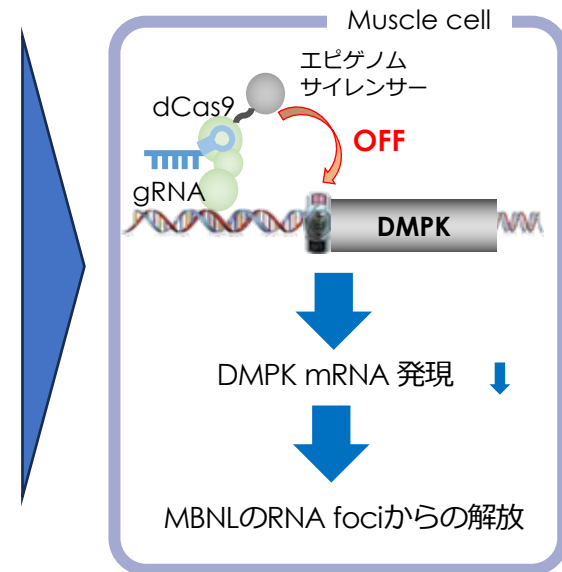
この変異がもたらすこと

DM5K遺伝子が作る異常なRNAがMBNLタンパク質を捕捉し、MBNLの機能が低下
→ スプライシングの異常が広範囲に起こり、筋肉機能の異常を引き起こす

DM1の分子病態メカニズム（イメージ）



CRISPR-GNDM®によるDM1治療メカニズム

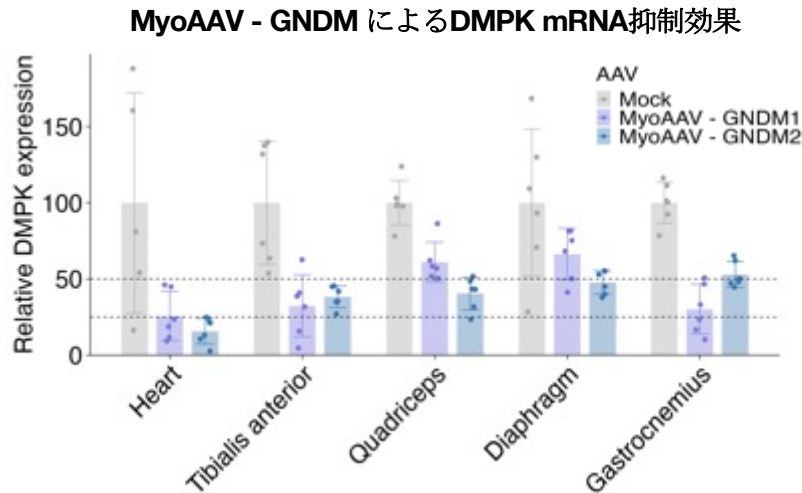


DM1の根本原因にアプローチし、スプライシング異常を正常化することで、筋機能の改善を目指します

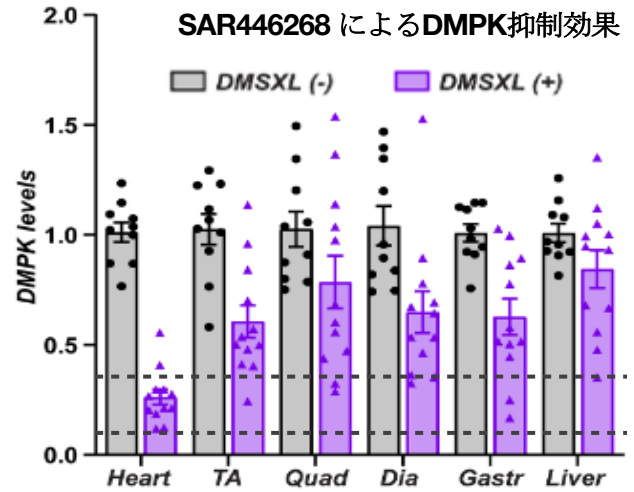


心筋・横隔膜を含む複数筋組織でベンチマークを上回る抑制

GNDMはあらゆる筋肉組織で報告されているベクター化miRNAを凌ぐDMPK抑制効果を示した



8 wks dosing at 1e14 vg/kg to DMSXL mouse model (n=6)
8 wks post-injection harvest



8 wks dosing at 9e13 vg/kg to DMSXL mouse model (n=10-12)
8 wks post-injection harvest (Tomassy et al., 2025)

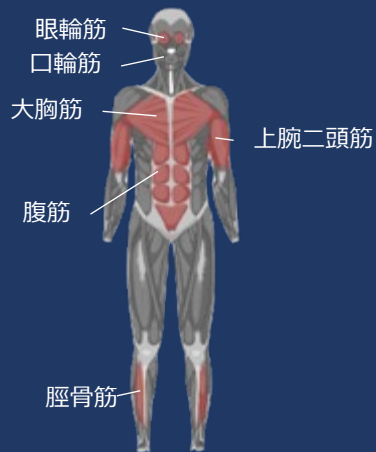
DMPK抑制率(%)	心臓	横隔膜	大腿四頭筋	前脛骨筋	腓腹筋
GNDM2-MyoAAV	87%	52%	60%	63%	49%
Sanofi '268	~76%	~32%	~25%	~40%	~35%

顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー(FSHD)

Dux4遺伝子を原因とする神経変性疾患

MDL-103

傷害性のあるDux4遺伝子産物の発現を抑制することでファーストインクラスとなり得る治療

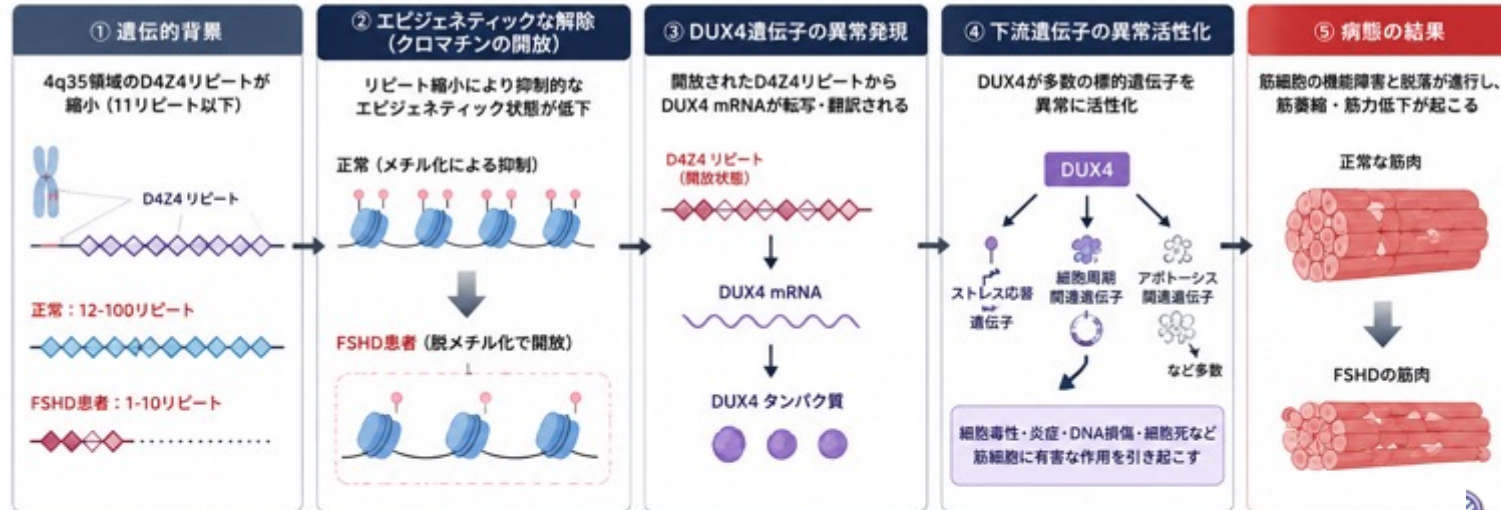


罹患率	約1万-2万人に約1人	成人で最も頻度の高い筋ジストロフィー
発症	20代まで認識されないことが多く、青年期に悪化する傾向	成人発症型と小児発症型に分ける専門家もいる。成人発症型の方がはるかに一般的である。
病態	顔面（目&口）、肩、上腕、手首、下腹部等の筋力低下	顔面、肩、腕と病態は進行一般的に病態の進行は遅い 非対称（アンバランス）な筋力低下の症状が見られる 筋力低下の範囲が広がることもある 視力障害、血管異常、聴覚障害など
原因	DUX4遺伝子の過剰発現	常染色体優勢遺伝, FSHD1(95%)、2(5%), DUX4は本来生殖細胞で発現、体細胞では抑制
市場規模	\$500M以上 2022年	

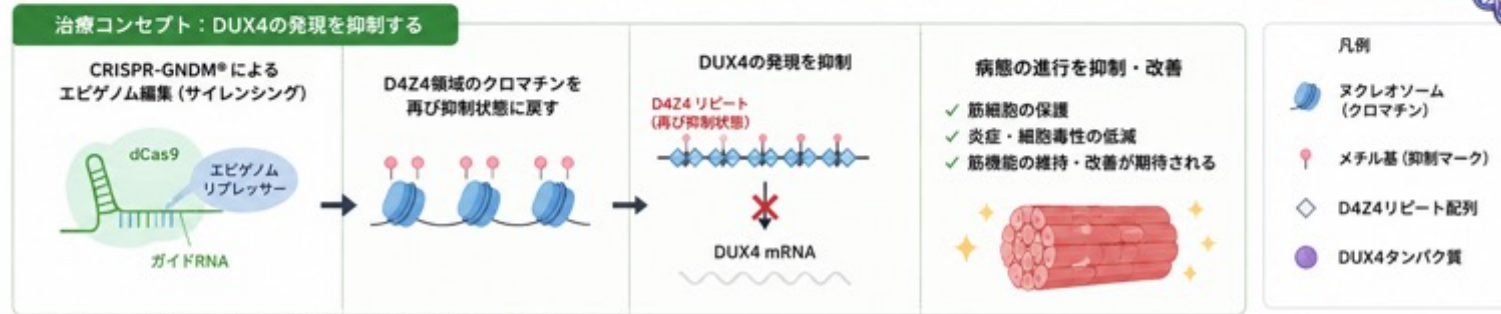
Source: <https://doi.org/10.1212/WNL.0000000000011425> Orphanet, Raymond A. Huml MD A concise guide

FSHDの病態メカニズム

Dux4遺伝子の異常な発現が、筋細胞の機能障害と筋萎縮を引き起こす



作用機序
II
Dux4を
封印する

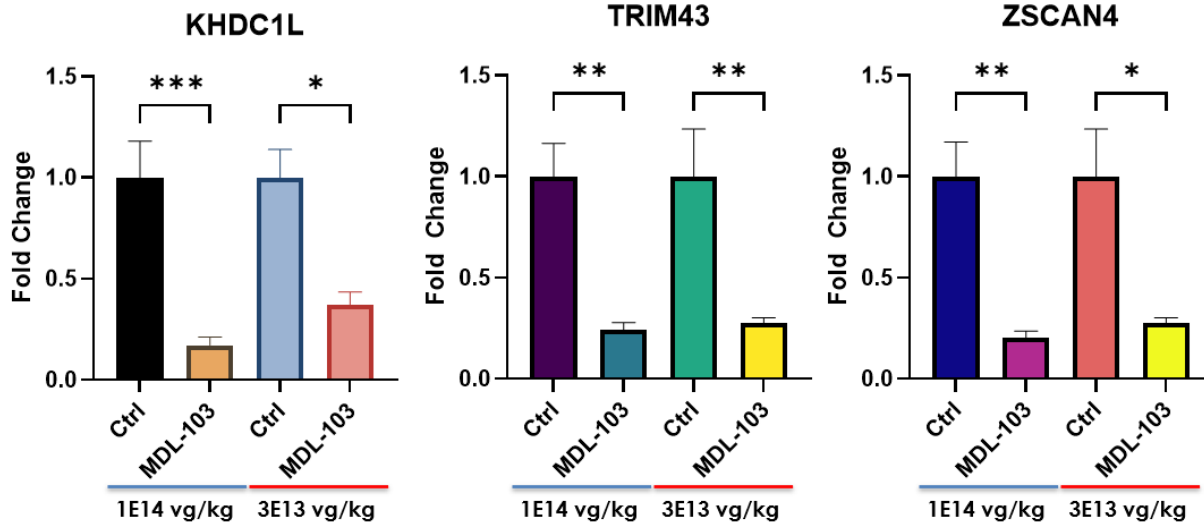
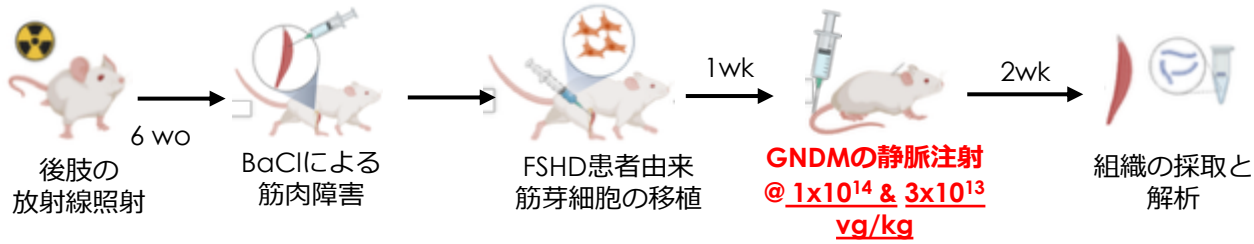


※本図は研究報告等をもとに作成した模式図であり、実際の分子機構をすべて示すものではありません。



疾患モデルでの作用

3e14vg/kgのMDL-103を全身投与することで、Dux4の下流遺伝子の発現が70~80%抑制

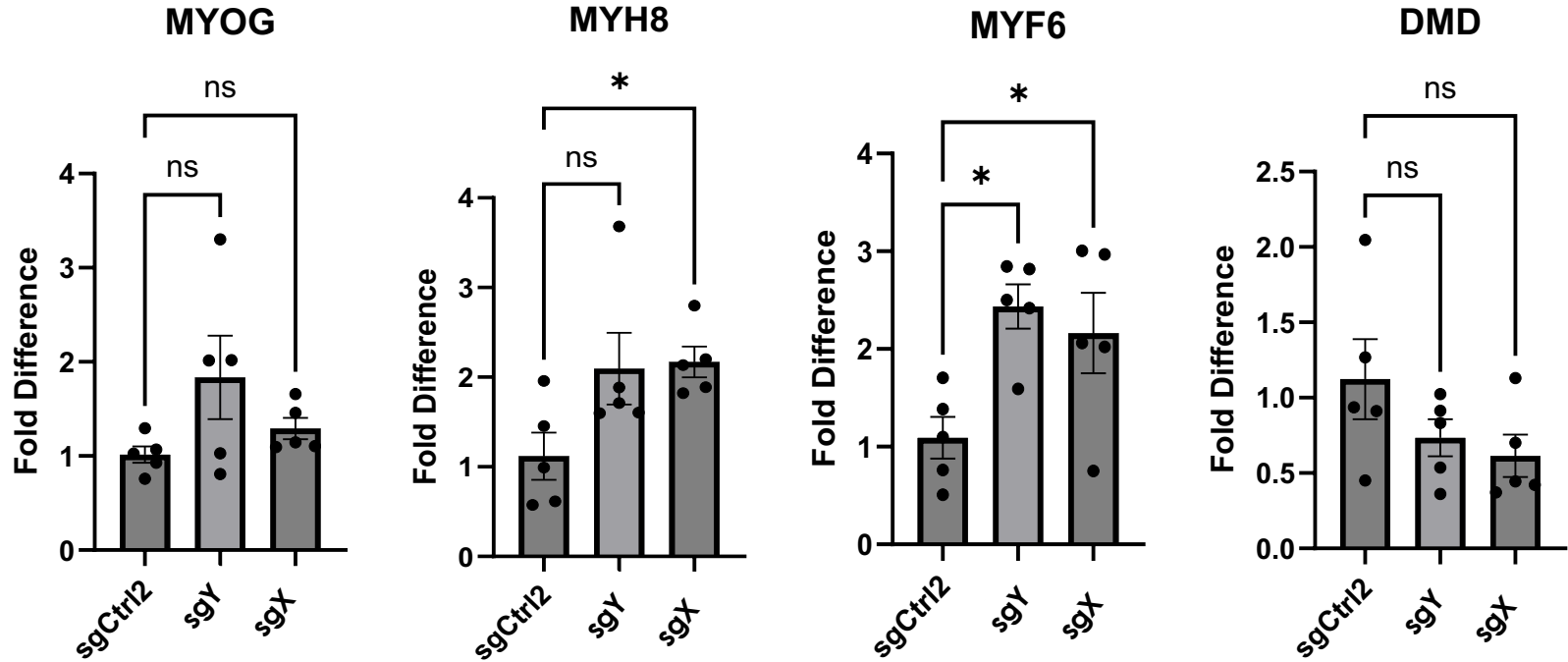


MDL-103では、さらに低用量でも、3つのDUX4標的遺伝子すべてに対して70~80%の抑制効果が得られた



DUX4の選択的抑制

DUX4を抑制しながら筋形成を維持



Dose: 1E14 vg/kg
Statistical significance by ANOVA with Dunnett's test

ASGCTおよびSolveFSHD年次報告会におけるデータ発表

Solve FSHD年次報告会

- Progress update of MDL-103
- 日時 2026年4月8日

米国遺伝子細胞治療学会(ASGCT)

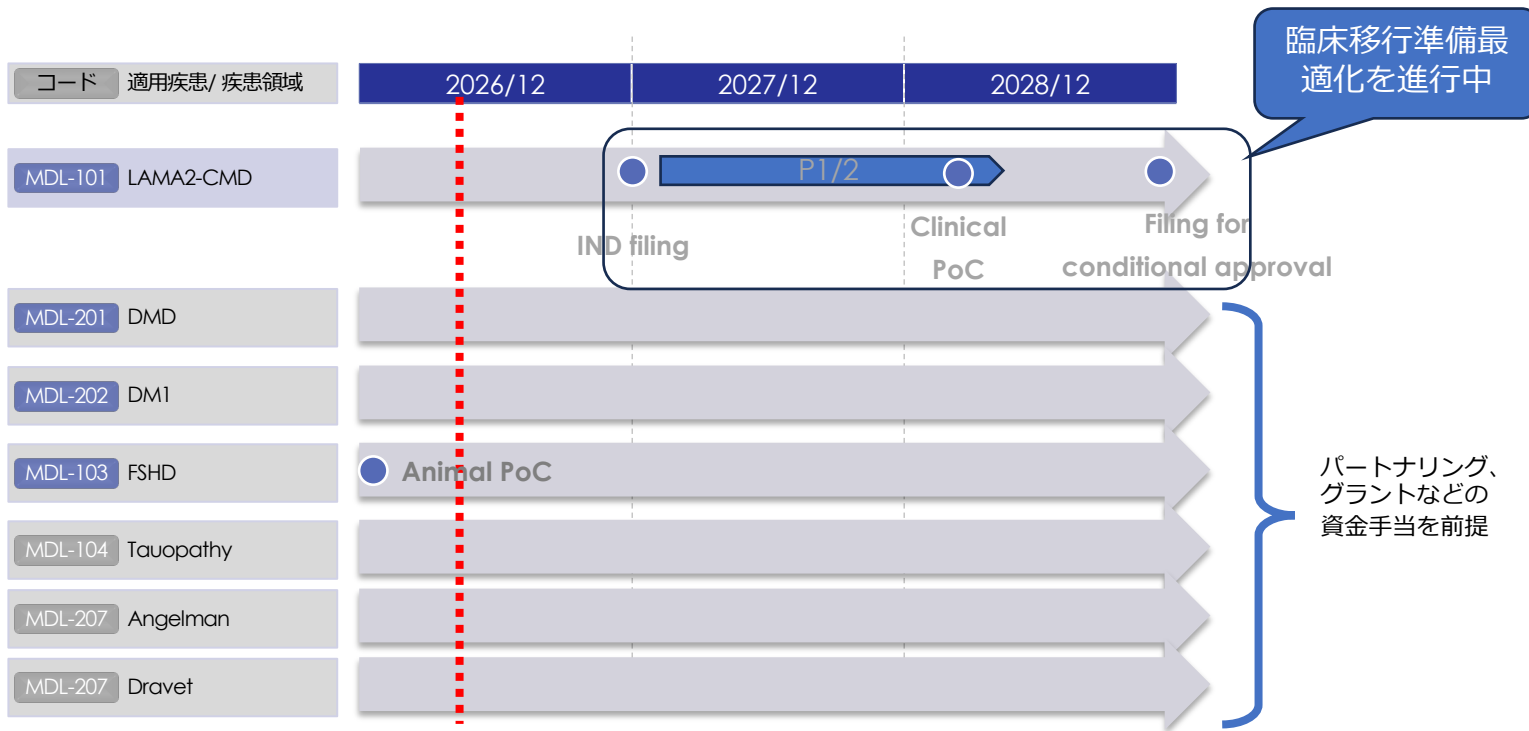
- タイトル: [Pairing AAV genome and capsid engineering of an epigenetic-editing modality to develop a best-in-class treatment for Myotonic Dystrophy Type 1 \(DM1\)](#)
- 日時: 2026年5月12日 5:00-6:30 PM EST
- タイトル: [Epigenetic suppression of Dux4 using CRISPR-GNDM technology as a therapeutic for FSHD](#)
- 日時: 2026年5月13日 5:00-6:30 PM EST



パイプラインの状況と今後のマイルストーン

2028年後半の早期承認制度による申請活用可能性を視野

パイプラインの状況



*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。

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 ✓ プラスミドのGMP製造完了 ✓ ODD and RPDD受領 ✓ 論文発表(12月) 	<ul style="list-style-type: none"> □ マウスIND enabling試験完了(1H) □ GLP-Tox 完了 □ GMP製造完了 □ IND □ FPF □ 臨床PoC (2027~2028) □ 2028年以降の条件付き承認申請の可能性を視野(2028) <p style="margin-left: 20px;">} 臨床移行準備最適化の観点から再設定検討中</p>
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-202 (DM1) ✓ MDL-103 (FSHD) ✓ 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) ✓ JCRとのCNS領域で共同研究 ✓ Solve FSHD conference および ASGCTでの報告(MDL-202, MDL-103) 	<ul style="list-style-type: none"> • 筋疾患および中枢神経プログラムに最適なキャブシドの探索と投与ルート of 検討 • パートナリングや助成金等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

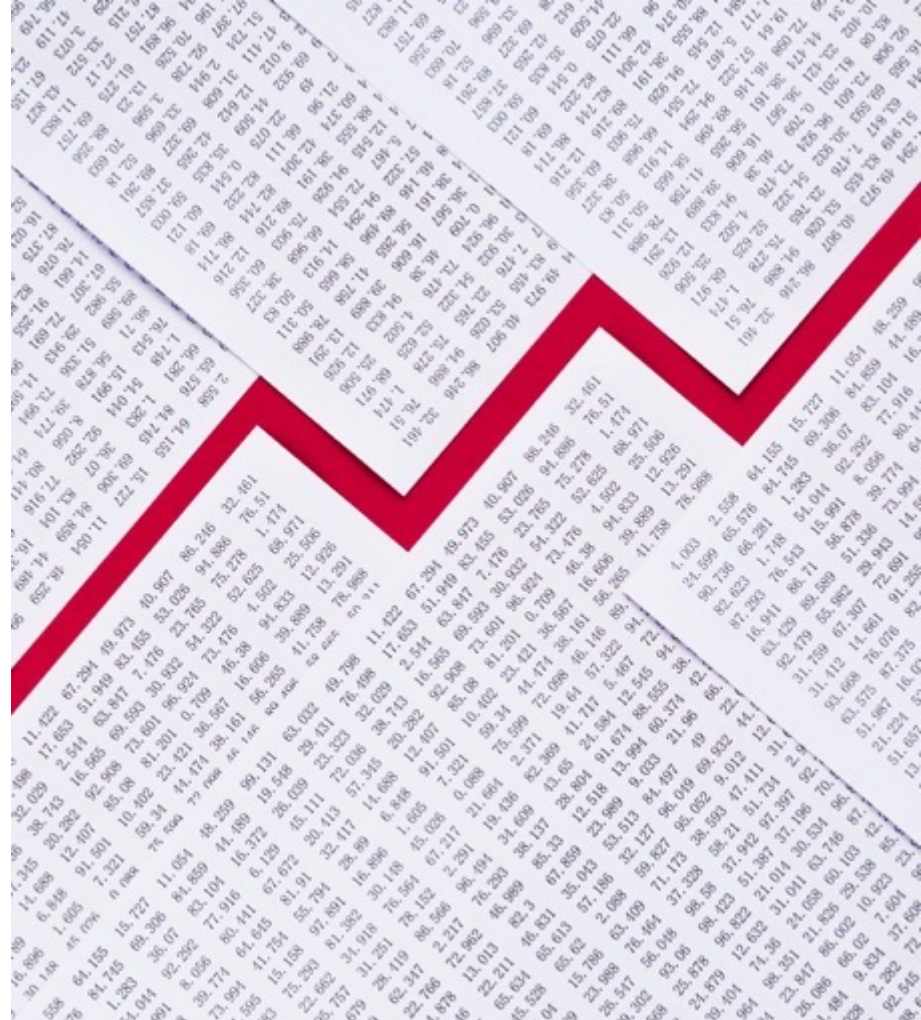
知財の状況

順調に各国以降特許が査定を受けつつある

- デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療薬の開発を目指す**MDL-201**関連特許
「Utrophin遺伝子を標的としたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療方法」が韓国登録（特許10-2021-7018333）（1月）



2. 2026年12月期 第1四半期末の 財務状況



2026年 第1四半期末 財務状況(貸借対照表)

2026年以降の事業に向けて必要な一定水準の現金および預金を維持

(百万円)

	2025年12月期末 (A)	2026年12月期 第1四半期末 (B)	差異 (B) - (A)
流動資産	2,892	2,890	△2
現金及び預金	2,812	2,812	0
固定資産	71	51	△20
資産合計	2,964	2,942	△22
流動負債	134	115	△19
固定負債	36	27	△9
負債合計	170	142	△28
純資産合計	2,793	2,799	6
負債純資産合計	2,964	2,942	△22
自己資本比率	93.0%	93.8%	

NOTE

・研究開発投資は継続しつつ、新株予約権行使が進行し現金及び預金の増減は僅少。

2026年第1四半期末 財務状況(損益計算書)

MDL-101プログラムの臨床試験に向けた活動費用が主なものとなり、事業費用342百万円を計上

(百万円)

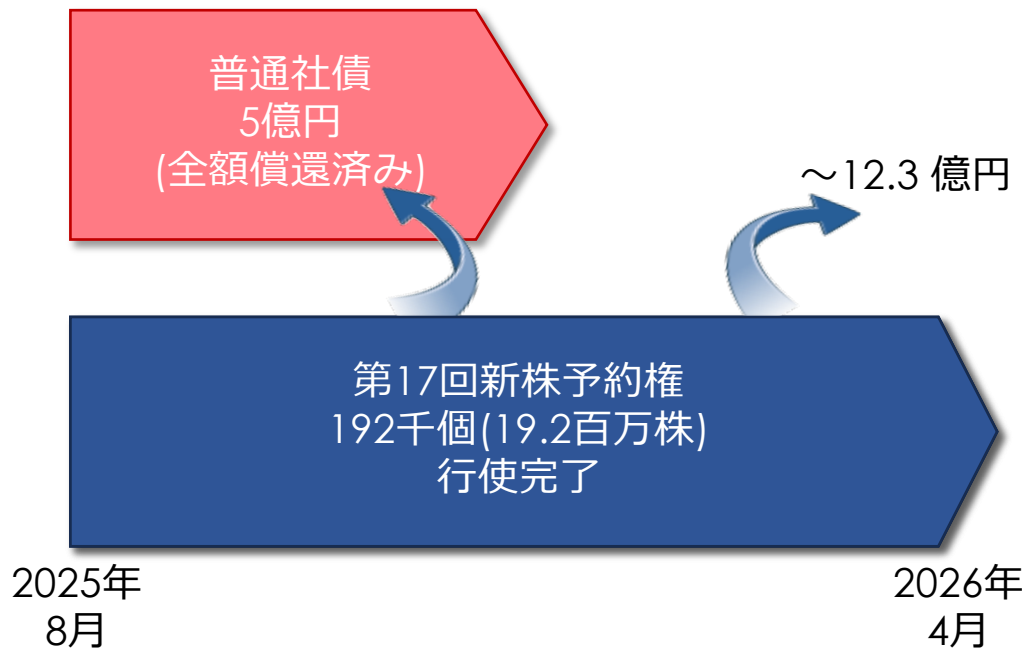
	2025年12月期 第1四半期 (A)	2026年12月期 第1四半期 (B)	差異 (B) - (A)
事業収益	-	-	-
事業費用	632	342	△290
研究開発費	571	293	△278
販管費	61	48	△13
営業利益	△632	△342	290
経常利益	△651	△322	329
当期純利益	△652	△323	329

NOTE

- MDL-101を中心とした開発活動進展に伴い研究開発投資を継続。一方で、資本政策および外部資金活用を含む財務戦略を継続的に推進。

第17回新株予約権+第2回普通社債による調達状況

第17回新株予約権は行使完了済



- MDL-101の追加資金
- MDL-201の開発費
- MDL-103他後続パイプラインの研究開発費
- 事業運営費

3. 成長戦略



成長の3ステップ

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



技術への親和性の高い疾患で PoC を取得

MDL-101



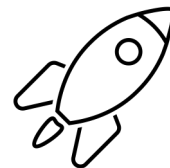
患者規模の大きい対象疾患へと展開

MDL-201
MDL-202



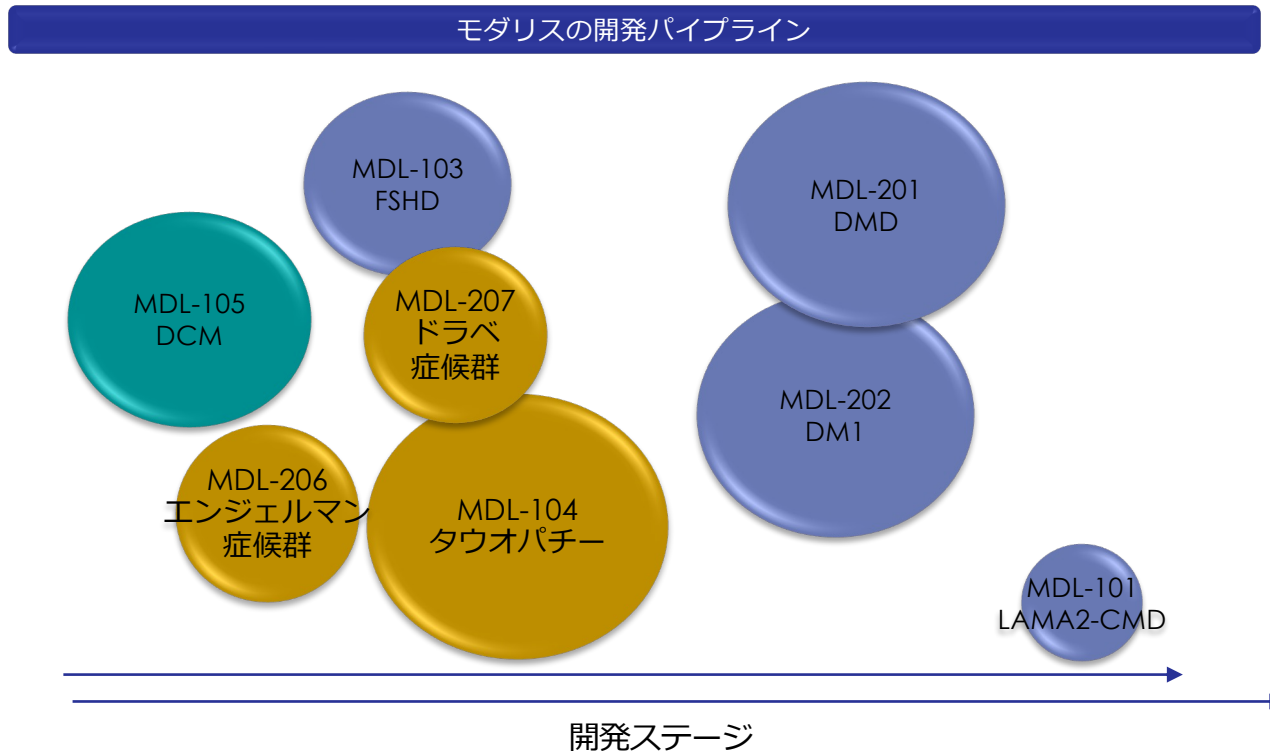
よりチャレンジングなテーマへ拡大

その他のプログラム



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、201、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



4. まとめ

2026年第一四半期のキーポイント

1. MDL-101の臨床移行準備を継続。病態モデルにおいて長期生存改善および機能改善を確認。
2. MDL-202が新型キャプシドでベンチマーク薬剤を超えるDMPK抑制効果を示す。
3. MDL-103が病態モデルで低用量でも強い有効性を示したのに加え、筋肉再生に影響を与えないことを確認
4. DMD特許(MDL-201)が韓国で成立
5. 第17回新株予約権の行使完了 (12.3億円の調達)

Modalis Therapeutics



MODALIS

- Based in Greater Boston area
- Pioneering the first CRISPR-based gene modulation technology since 2016
- Leading company in CRISPR epigenetic modulation
- Develops novel precision medicines for genetic disorders that have no cure





5. Q&A

Q1. MDL-101のINDタイムライン見直しの背景

MDL-101については、現在、GLP毒性試験およびマウスIND-enabling試験を継続して実施しており、これまでのところ重大な新規安全性シグナルは認識されておりません。また、薬効およびプロダクトコンセプトを毀損するような知見も得られておらず、病態モデルで示された有効性およびLAMA1発現誘導の結果は、引き続き本治療コンセプトを支持するものと考えています。

一方で、MDL-101は当社の最重要パイプラインであり、臨床移行後の成功確率を最大化する観点から、CMC、解析系構築、追加評価、臨床試験準備を含めた開発計画の最適化を進めています。臨床家との対話においても、LAMA2-CMDに対するアンメットニーズと本治療アプローチへの期待は高く、当社としては引き続き慎重かつ着実に臨床移行準備を進めてまいります。

Q2. 臨床移行に向けて現在重点的に取り組んでいる課題は何ですか？

当社が現在、追加解析を含め重点的に取り組んでいるのは、主に以下の領域です。

- 分析的特性評価の高度化
- 製造および品質管理プロセスの堅牢性強化
- 長期発現プロファイルの検証
- 臨床応用を見据えたトランスレーショナル評価
- 投与量および投与戦略の最適化

MDL-101は、CRISPR-GNDM®を用いたエピゲノム編集治療薬として先行的な開発プログラムであることから、当社としては、単に早期のIND申請を目指すのではなく、臨床移行後および将来的な製品価値最大化まで見据えた開発を行うことが重要と考えています。

そのため、これらの項目について現段階で十分な検証および最適化を進めることが、将来的な承認取得、製品競争力や長期的な事業価値向上において重要であると判断し、慎重に取り組んでいます。

Q3. 開発計画の見直しが行われる中で、MDL-101の価値をどのように考えていますか？

MDL-101は、これまで有効な治療法が存在しなかったLAMA2-RDという高いアンメット・メディカル・ニーズを有する疾患に対し、新たな治療選択肢となる可能性を持つプログラムであると考えています。

特にLAMA2-RDは、遺伝子サイズや組織分布などの観点から、従来型の遺伝子補充療法では技術的課題が大きい疾患であり、MDL-101はLAMA1を誘導するという独自のアプローチによって、それらの課題に対応しうる可能性があります。

またMDL-101は、エピゲノム編集による遺伝子活性化を用いた全身投与型治療薬として、世界でも先行的な位置づけにあるプログラムであり、CRISPR-GNDM®プラットフォーム全体の臨床的価値を示す重要なパイプラインと考えています。

これまでの非臨床試験では、病態モデルにおいて長期生存の改善、機能回復、および霊長類におけるターゲットエンゲージメントなど、本治療コンセプトを支持する結果が得られています。当社としては、こうした結果を踏まえ、単に早期の臨床移行を優先するのではなく、長期的な成功確率と製品価値の最大化を見据えながら慎重に開発を進めることが重要であると考えています。

MDL-101の開発成功は、LAMA2-RD患者さんへの新たな治療可能性を提供するだけでなく、CRISPR-GNDM®によるエピゲノム編集という新たな治療コンセプトの臨床的実証につながり、将来的な他疾患への展開においても重要な基盤になると考えています。

Q4. 現在の現金水準で、どの程度の開発継続が可能ですか？

第17回新株予約権の行使完了を経て、2026年3月末時点で28億円超の現預金残高を確保しており、現在進行中の主要開発活動を推進するために必要な資金基盤を維持しています。

また、当社は資本市場からの調達に加え、グラント、共同研究、パートナーリングなどを含めた資金ソースの多様化についても継続的に検討・推進しています。

当社としては、規律ある資本配分を維持しながら、MDL-101を中心とした重要開発プログラムへの投資を優先し、中長期的な企業価値最大化を目指して事業運営を行っていく方針です。

Q5. MDL-202の競争優位性をどのように考えていますか？

今回開示したデータでは、MDL-202は病態モデルにおいて、既報のベンチマーク薬剤と比較して強いDMPK抑制効果を示しました。特に、DM1において重要な病態関連組織である心筋および横隔膜において高い抑制効果が確認された点は、本プログラムの重要な特徴であると考えています。

また、MDL-202はDMPK変異そのものを修復するのではなく、転写制御を通じて病態RNAの発現を抑制するアプローチであることから、特定の変異型に依存しない、幅広い患者さんへの適用可能性を有する可能性があります。

当社としては、こうした結果は、新規筋指向性キャプシドとCRISPR-GNDM®分子との組み合わせによる相乗効果によって得られたものと考えています。

さらに、FSHDを対象としたMDL-103やDMDを対象としたMDL-201など、他の筋疾患プログラムにおいても、CRISPR-GNDM®技術の有効性を支持するデータが得られており、当社としては、今後、持続性やトランスレーショナル評価を含めた検討を進めながら、各プログラムの開発を継続していく方針です。

Q6. エピゲノム編集領域で競争が激化していますが、Modalisの差別化要因は何ですか？

近年、CRISPR技術を用いたエピゲノム編集領域には新規参入が増加しており、特に遺伝子サイレンシングを中心としたプログラムが数多く開発されています。一方で当社は、遺伝子治療のような高い技術的ハードルと一定のリスクを伴うモダリティが将来的に広く受け入れられるためには、まず高いアンメット・メディカル・ニーズを有し、既存モダリティでは十分な治療アプローチが難しい疾患領域において価値を示すことが重要であると考えています。

その観点から、当社はLAMA2-RDのような、従来型の遺伝子補充療法では技術的制約の大きい疾患に対して、エピゲノム編集による遺伝子活性化という独自アプローチを採用しています。特に筋疾患領域は、全身送達、発現持続性、組織選択性など高い技術力が求められる一方、アンメットニーズも非常に大きい領域であると考えています。

また、現在のエピゲノム編集領域では、遺伝子サイレンシングを中心とした開発が主流である一方、当社は遺伝子活性化を中心とした数少ない企業の一つであり、この点も重要な差別化要因であると考えています。

当社としては、CRISPR-GNDM®による遺伝子活性化技術、筋指向性デリバリー技術、および全身投与型AAV開発に関する知見を組み合わせることで、引き続き本領域において先行的なポジションを維持していると考えています。