



当社の 遺伝子治療薬開発事業 について

株式会社モダリス
証券コード：4883

2026年10月7日
於 ログミーIRセミナー

The switch



is the Key

- ・ 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」、「予想する」、「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。
- ・ 事業計画に変更があった場合には変更を行う場合があります。

会社概要 (2026年6月末現在)

MODALIS

Every Life Deserves Attention
全ての命に光を

会社名	株式会社モダリス (証券コード: 4883)
設立	2016年1月
代表者	代表取締役CEO 森田 晴彦
会社所在地	東京都中央区日本橋本町3-11-5 日本橋ライフサイエンスビル2 7F
米国法人	Modalis Therapeutics Inc. (43 Foundry Avenue, Waltham, Massachusetts)
資本金	885 百万円
発行済株式数	97,334,098株
従業員数	21名 (連結、うちPh.D. 8名) ([国内] 5名 [海外] 16名 契約社員を含む)

What is Modalis?

遺伝子制御プラットフォーム
CRISPR-GNDM®
エピゲノム編集技術

↓
多様な疾患への遺伝子治療薬創製

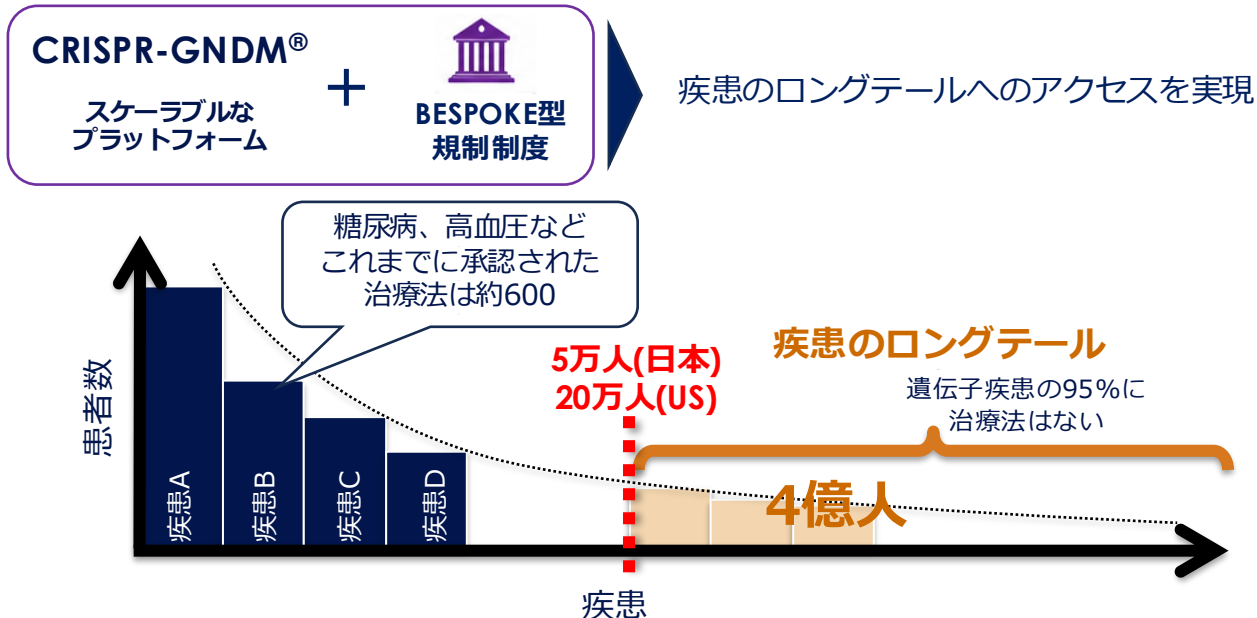


有益な遺伝子を **ON** に
有害な遺伝子を **OFF** に

希少疾患のロングテールに挑む

水平展開可能な技術と新たな規制枠組みにより、希少疾患治療開発の経済合理性を解決する

- 1 希少疾患は疾患のロングテールを形成している
- 2 約7,000の希少疾患のうち治療法が存在するのはわずかに約5%
- 3 疾患毎の患者数は少なくとも世界では合計4億人の患者
- 4 水平展開可能な技術とBespoke型規制制度でロングテールへのアクセスが可能に



GNDMのような水平展開可能なプラットフォームと新たな規制制度により、これまで取り残されてきた患者に治療を届けることが可能に
約4億人の未充足患者ニーズに対する巨大な市場機会

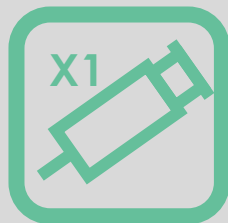
1回の投与で長期の病態改善効果を狙う遺伝子治療薬の創製

CRISPRエピゲノム編集によって、希少疾患に根本的解決を提供する

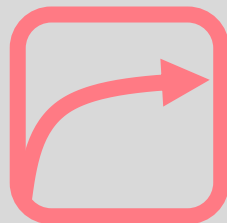
当社技術CRISPR-GNDM® 技術のもたらしうる効果の特徴



No Cut
遺伝子を
調節するだけ



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

遺伝子治療薬は1回の投与で長期の病態改善効果を狙う

経営陣

豊富な経験を有する取締役・社外取締役による経営チームを構成

森田 晴彦 代表取締役CEO



キリンビール(株)[現 協和キリン(株)]にてバイオ医薬品、スロンボポイエチンの研究開発に従事後、ブーズ・アンド・ハミルトン(現 PwC Strategy &)で企業の経営戦略に対するコンサルティングを提供。抗体医薬を開発するY's Therapeuticsにおいては経営企画、事業開発および米国法人の立ち上げとマネジメントに貢献。2006年にGvHD(血液幹細胞移植に伴う移植拒絶)を制御性T細胞の誘導によって治療を目指すREGIMMUNEを設立し、CEOとして米国第2相臨床試験までリードプログラムの開発を指揮。2016年当社設立。代表取締役CEOに就任。バイオテック企業のシリアルアントレプレナー。東京大学工学部卒業 同大学院修了

中村 栄作 社外取締役 監査等委員



総合商社において化学品、医療、ハイテク分野を中心とした事業に従事した後、ベンチャーキャピタリストとしてベンチャー企業への投資業務に携わる。その後、複数のバイオ関連企業の取締役・監査役を歴任し、現在は株式会社デ・ウエスタン・セラピクス研究所、ソレイジア・ファーマ株式会社等の取締役を務める。東京大学工学部卒業、同大学院修了。

竹田 英樹 社外取締役



藤沢薬品工業(株)[現 アステラス製薬(株)]では、研究部門を経て知財部門にて特許、知財戦略構築に従事。財団法人先端医療振興財団 知的クラスター創成事業科学技術コーディネーター就任。2009年に(株)Medical Patent Research設立。(株)ヘリオスの前身の日本網膜研究所設立に代表取締役として携わった他、多くのバイオベンチャーを知的財産戦略的な側面からサポートを行っている。大阪大学理学部生物学科卒業 同大学院修了

田島 照久 社外取締役 監査等委員



大手監査法人等にて、バイオベンチャーに対する財務・会計に関するコンサルティング、支援業務に従事。田島公認会計士事務所を設立し、バイオベンチャー企業を中心とした税務・コンサルティング業務に従事。PRISMBioLab、旺文社、松屋フーズホールディングス等の社外監査役/社外取締役を務める。神戸大学卒業 公認会計士

Joseph McCracken(ジョー・マクラッケン) 社外取締役



ジェネンテック社の元事業開発担当副社長、アベンティス社およびローヌ・ブーラン・ローラー(サノフィに合併)で同様の役職を歴任。また、ロシュ・ファーマ・ジャパンおよびアジア地域統括本部 長兼ロシュ・パートナーリングのゼネラルマネージャー。ロシュの事業開発・ライセンシング担当副社長兼グローバルヘッドとして、グローバルなインライセンシングおよびアウトライセンシング活動を統括。現在はバイオ製薬企業に対して、企業戦略および事業開発イニシアティブの設計と実施に関する助言を提供。サバラ・ファーマスーティカルズの取締役も兼任。オハイオ州立大学で微生物学の理学士号、薬理学の理学修士号、獣医学博士号を取得。

古田 利雄 社外取締役 監査等委員



弁護士法人クレア法律事務所の代表として長年にわたってベンチャー企業の創設・成長支援を実施。上場企業では(株)キャンパスにて取締役(監査等委員)を務める。弁護士 東京弁護士会所属

執行体制

遺伝子治療とそのビジネスに精通した経営体制



代表取締役CEO
森田 晴彦

- 創業者として当社の経営戦略・事業開発・資金調達を統括
- 研究開発から事業開発、経営まで幅広い経験を有するシリアルアントレプレナー
- REGiMMUNEを創業し、リードプログラムを米国第Ⅱ相臨床試験まで推進
- キリン（現 協和キリン）、Strategy&（旧 Booz & Hamilton）、Y's Therapeuticsを経て2016年に当社を設立
- 東京大学工学部卒業、同大学院修了



CSO
山形 哲也

- 創薬研究から臨床開発まで研究開発戦略全般を統括
- 医学、免疫学、分子生物学を専門とし、アカデミア・臨床・製薬企業で豊富な経験を有する
- ハーバード大学にて免疫寛容研究を推進し、リサーチフェローおよびインストラクターを歴任
- 獨協大学血液腫瘍内科准教授、Tempero Pharmaceuticals、GSKを経て当社参画
- 東京大学医学部卒業、同大学院修了、医師・医学博士



VP, Operations and
Business Development
中島 陽介

- 事業開発および米国法人の経営管理を担当
- 住友化学にてアグリバイオ研究開発、ライフサイエンス分野の事業企画に従事
- 同社米国法人でコーポレートベンチャーリング機能の立ち上げと運営を推進
- ライフサイエンス分野で多数のパートナーリング・投資案件を実行
- 名古屋大学農学部卒業、同大学院修了、MIT Sloan MBA



VP, Neuromuscular Diseases
Yuanbo Qin
(ユアンボウ・シン)

- 神経筋疾患領域の研究開発を統括
- 創業期より参画し、CRISPR-GNDM®技術の確立および発展を主導当社知的財産ポートフォリオの基盤となる複数の重要特許の発明者
- リードプログラムMDL-101の立ち上げから開発推進まで中心的役割を担う
- 中国科学院博士、イエール大学客員研究員、ハーバード医科大学博士研究員



VP, Manufacturing
Seth Levy
(セス・レヴィ)

- CMC部門を統括し、製造戦略・プロセス開発・分析開発を推進
- 遺伝子治療分野で豊富なCMC経験を有する製造開発のエキスパート
- Thermo Fisher Scientific / Brammer Bioにて多数の遺伝子治療プログラムの臨床移行を支援
- 分析・プロセス開発および製造プラットフォームの構築を主導
- マサチューセッツ大学アマースト校卒、アラバマ大学博士（分子細胞病理学）

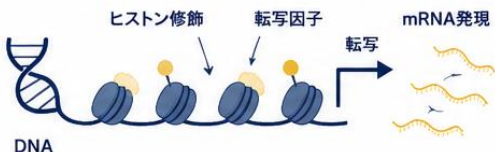
エピゲノム

遺伝子が、いつ、どこで、どれだけ読み出されるかを決定づけ、細胞やその機能などの多様性をつくり出す仕組み

多様な細胞の設計図は同じ

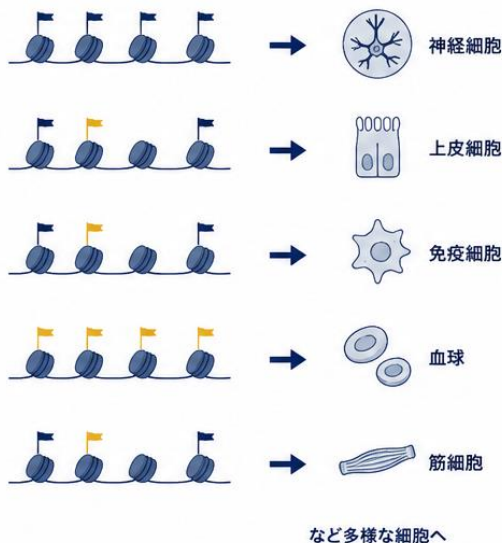


DNAからRNAが読み出される仕組み



エピゲノムの状態によって、
遺伝子の ON / OFF や発現量が制御される

細胞の多様性はエピゲノムで支配されている



■ 遺伝子を出す (ON) ■ 遺伝子を出さない (OFF)
● ヒストンなどのエピゲノム状態

エピゲノムは

あたかもオーケストラの指揮者のように、
遺伝子の発現を調節している



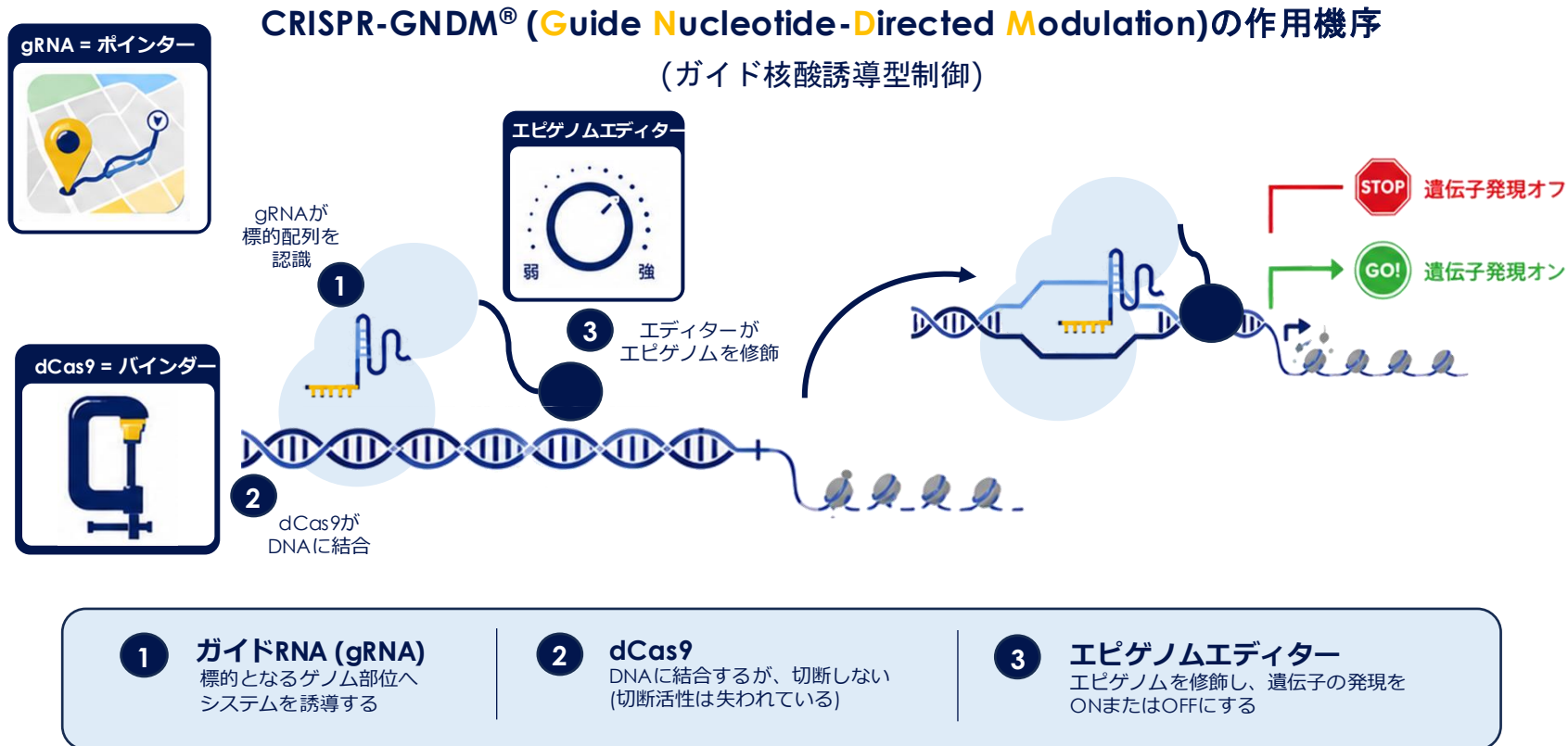
エピゲノムが、いつ、どこで、どれくらい
遺伝子を出すかを制御することで、
多様な細胞の形態や機能が生み出される



エピゲノムの破綻は病気に繋がる

CRISPR-GNDM®の作用機序

GNDMによってエピゲノムは操作変数となった



精密医療モダリティ：異なる課題に最適なソリューションを

精密医療技術は競合ではなく、補完的な関係

GNDMは、大きな遺伝子や複雑な生物学的課題の制御を可能にし、治療可能な疾患領域を拡大する

	 従来の遺伝子治療 (遺伝子補充)	 遺伝子編集 (ヌクレアーゼ/ベース/プライム)	 RNA医薬 (ASO/siRNA/mRNA)	 遺伝子制御 (GNDM®) (活性化/抑制)
 最適な対象領域	- 欠損または機能不全タンパク質の補充 - 比較的小さな遺伝子による単一遺伝子疾患	- 疾患原因変異の修復 1塩基変異や小さな挿入/欠失変異	- 一時的なノックダウンまたはモジュレーション - 反復投与が許容される疾患	- 治療有用遺伝子の活性化 - 疾患原因遺伝子の抑制 - 大きな遺伝子や複雑な生物学的課題の制御が必要な疾患
 標的遺伝子のサイズ	($\leq \sim 4\text{kb}$) 小さい ($\leq \sim 8\text{ kb}$)	小～中程度 ($\leq \sim 8\text{ kb}$が多くの手法の上限)	遺伝子サイズに依存しない (標的転写産物に依存)	大きい (実質的な上限なし)
 持続性	長期的 (長期持続の可能性)	永久的 (一度の治療で持続)	一時的 (数か月程度)	長期的 (長期持続の可能性)
 投与パラダイム	単回投与 (多くの場合)	単回投与 (多くの場合)	反復投与 (モダリティにより頻度は異なる)	単回投与 (多くの場合)
 主な考慮事項	- ベクターの搭載容量に制限 - AAVに対する免疫応答	- オフターゲット編集のリスク - DNA二本鎖切断のリスク (手法による)	- 反復投与が必要 - 標的組織へのデリバリー	- 生理的な遺伝子制御を維持 - 広い適用性 (LoF/GoFの両方) - 遺伝子サイズに依存しない
 承認製品の例 (米国/欧州/日本)	LUXTRNA® (RPE65-LCA) ZOLGENSMA® (SMA) ELEVIDYS® (DMD)	CASGEVY® (SCD/βサラセミア) (今後、追加承認の見込みあり)	SPINRAZA® (SMA) QFITLIA® (HAE)	AMVUTTRA® (hATTR-PN)
	承認製品はまだありません (First-in-class アプローチ) Modalisのプログラム： MDL-101, MDL-201, MDL-202, MDL-103 など			

CRISPR-GNDM®が最も価値を発揮する領域にフォーカス

遺伝子活性化技術の強みを最大限に発揮でき、患者さんに大きな臨床的インパクトをもたらし、かつ実現可能性と長期的な価値のある領域を厳選して取り組む



現在：筋疾患にフォーカス



- ✓ アンメット・ニーズが大きい
- ✓ AAVなどのデリバリー手段が確立
- ✓ 遺伝子活性化による治療機会が明確
- ✓ 臨床検証への最短・最速の道筋

MDL-101	LAMA2-RD
MDL-201	DMD
MDL-202	DM1
MDL-103	FSHD

臨床でのProof of Conceptを確立し、再現可能な開発パスを構築



将来：中枢神経 (CNS) 疾患への展開



神経疾患領域

- ・ タウオパシー
- ・ アンジェルマン症候群
- ・ その他のCNS疾患

- ✓ 標的となるバイオロジーは動物モデルで検証済み
- ✓ デリバリー技術は発展途上
- ✓ 大きな市場機会が期待できる長期的な成長領域

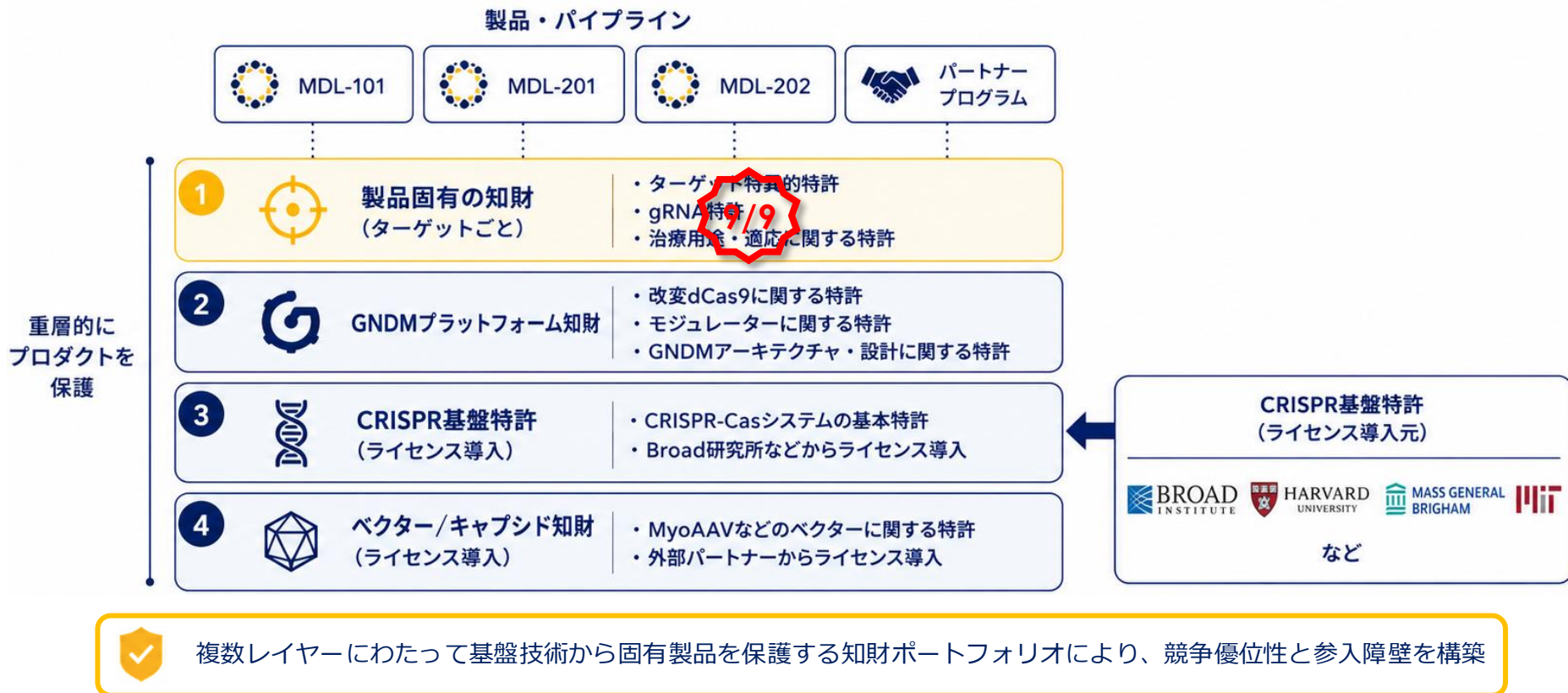
デリバリー技術の進展が主要な鍵となるが、優先度は今後高まると考えています



適切なバイオロジーがあり、差別化可能な領域にアプローチし、GNDM®の価値を最大化する

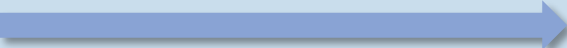
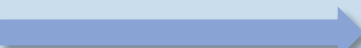
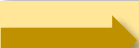
複層的な知財構成

複数レイヤーにわたる知財ポートフォリオを構築し、基盤技術から固有製品までを保護



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

				初期開発/前臨床			臨床試験	
Code	疾患名 /疾患領域	モード	所有権	探索／研究	リード 最適化	IND Enabling	前期臨床	ピボタル
MDL-101	LAMA2-RD*1	 ON	Modalis					
MDL-202	DM1*2	 OFF	Modalis					
MDL-201	DMD*3	 ON	Modalis					
MDL-103	FSHD*4	 OFF	Modalis					
MDL-105	DCM*5	 ON	Modalis					
MDL-104	タウオパチー	 OFF	Modalis					
MDL-206	エンジェルマン 症候群	 ON	Modalis					
MDL-207	ドラベ症候群	 ON	Modalis					

*1: LAMA2-related 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: Duchenne 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

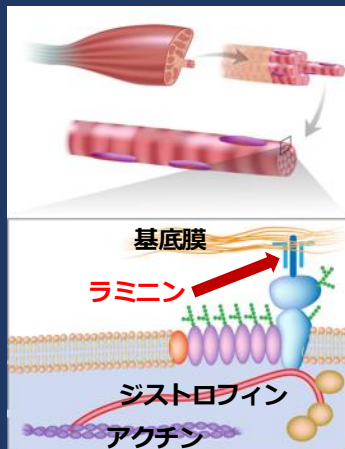
*5: Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

LAMA2-RD (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-RDに対する
あらゆるモダリティを含
めて初めての治療法



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



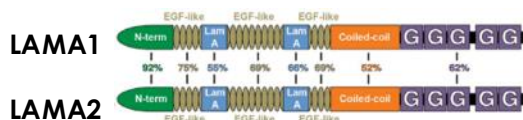
Source: *Estimating the Prevalence of LAMA2 Congenital Muscular Dystrophy using Population Genetic Databases (2023)

CRISPR-GNDM®の作用メカニズム

LAMA2の変異に対して姉妹遺伝子のLAMA1をオンにすることで筋肉の機能回復を行う

LAMA1とLAMA2タンパクの構造

LAMA1およびLAMA2は、約9kbの高い配列相同性を持つ姉妹遺伝子で、類似したラミニ α 鎖をコードする

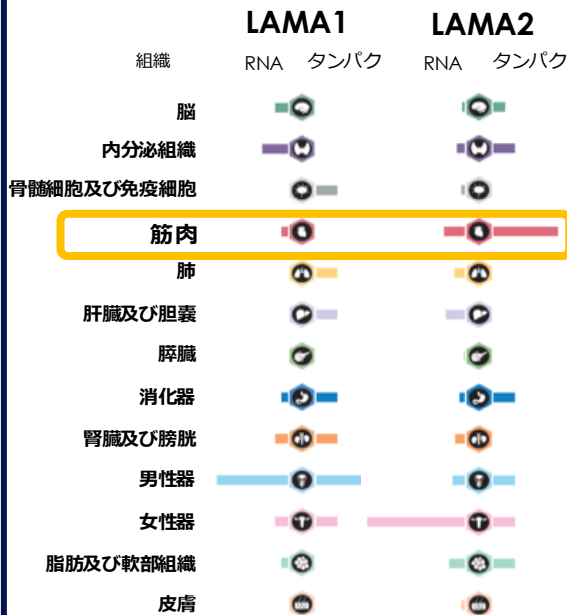


~9kb
(大きすぎてAAVには搭載不可能)



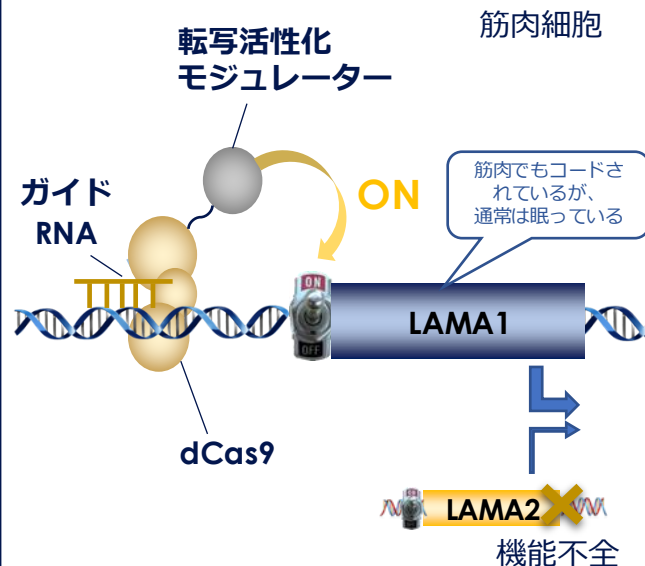
高い相同性により、LAMA1の発現を誘導することでLAMA2の機能を代替可能

組織ごとのLAMA1および2の発現パターン



LAMA1は通常は筋肉ではサイレント

CRISPR-GNDM®によるLAMA1の標的活性化



LAMA1をオンにすることで、LAMA2欠損による機能を補完



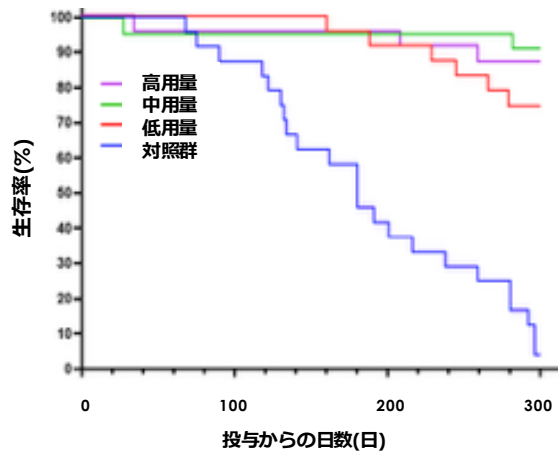
CRISPR-GNDM®は、姉妹遺伝子LAMA1を標的にすることで、LAMA2欠損症の筋機能回復を目指す



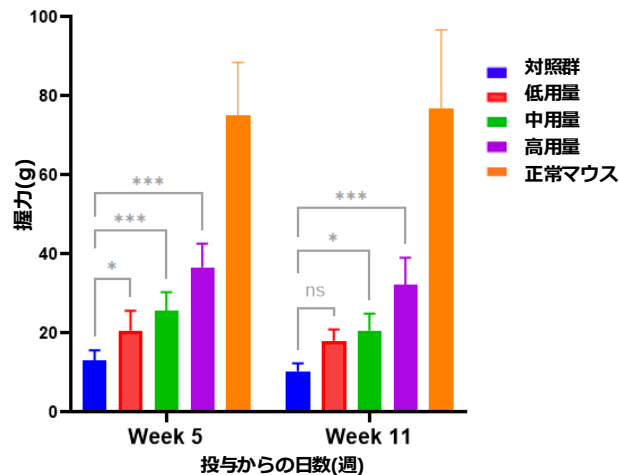
病態モデルマウスにおける体重、握力、生存曲線、ヘルススコアの改善

背景にはGNDMとLAMA1の持続的な発現がある

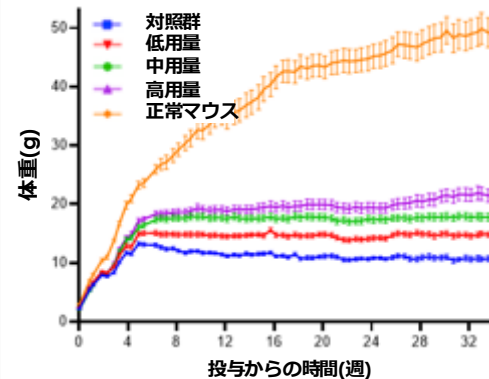
mMDL-101による生存率の改善



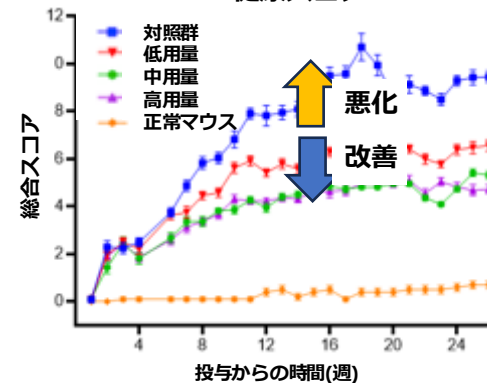
mMDL-101による握力の改善



体重



健康スコア



GNDMおよびLAMA1の持続的な発現

臨床開発に向けた準備は進捗中

堅実なデータと計画的な実行により、安全性と有効性を確保し、早期の臨床入りを目指す
臨床試験開始のために重要な4要素

1

IND enabling 試験



バイオマーカーおよび薬効(生存・機能など)の確認

2

GLP 毒性試験 Ongoing



安全性と薬物動態の検証

3

GMP製造 Ongoing



臨床用ベクターを
確実に供給する体制を構築

4

臨床サイトの準備 Ongoing



臨床試験の開始に向けて
万全の体制を整備

開発ロードマップ

これまでの達成事項
(~2026年2Q)

追加GLP毒性試験
(進行中)

製造 (GMP)
(進行中)

IND申請
2026年末~2027年初頭

臨床試験開始へ
2027年前半

- ✓ 薬効および裏付けデータの確認
- ✓ 長期のGNDMとLAMA1の発現確認
- ✓ 小児のサル試験で安全性および有効性を確認
- ✓ 製造プロセスの確立と品質の改善に関する取り組み
- ✓ 臨床プロトコルの準備
- ✓ 主要臨床試験サイトの選定



- データリードアウト(4Q)
- 解析



- 治験薬のGMP製造
- プラスミド:3Qリリース
- AAV: 4Qリリース



データパッケージの整備
IND申請の実施
→クリアランス



米国でのFIH試験開始
患者さんリクルート
FPFD*



安全性の確保



計画的な実行



患者さんへの貢献



長期的な価値創造



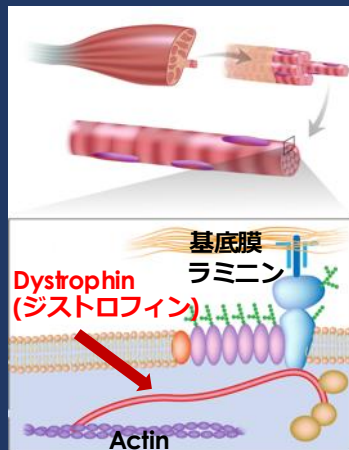
臨床開発に向けた重要なマイルストーンを着実に達成し、早期の臨床入りを目指します

デュシェンヌ型筋ジストロフィー(DMD)

Dystrophin遺伝子の変異を原因とする筋ジストロフィー

MDL-201

GNDMによりUTRN遺伝子を再起動させることによる治療法でベストインクラスとなり得る治療



罹患率	3,500~5,000人の男子新生児に1人	比較的頻度の高い遺伝性疾患
発症	3歳から6歳の間に発症することが多い	
病態	筋肉の減退及び萎縮を含む筋ジストロフィーの中で最も重い臨床症状	幼児期に運動発達の遅れが始まり、筋力低下が進行して12歳までに車椅子になる。その後、心筋症や側彎の進行、呼吸器系の合併症など
原因	Dystrophin遺伝子の変異及び欠失	遺伝子の変異により、ジストロフィンが欠損し、筋肉の壊死・再生という組織学的な異常発生
市場規模	41億米ドル in 2026 to 96億米ドル by 2031 (CAGR 18.8%) [#]	新しい治療薬の上市などの期待から CAGR=42.5%で成長するとの予測

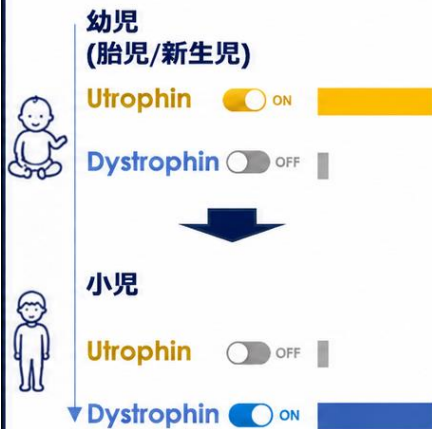
*Source: <https://doi.org/10.1212/WNL.00000000000011425> #Mordor Intelligence, 2026

ディストロフィンの喪失を補うためのユートロフィンの再活性化

Utrophinは発生初期には本来活性を持っており、再活性化されることでDystrophin欠損を補うことができる

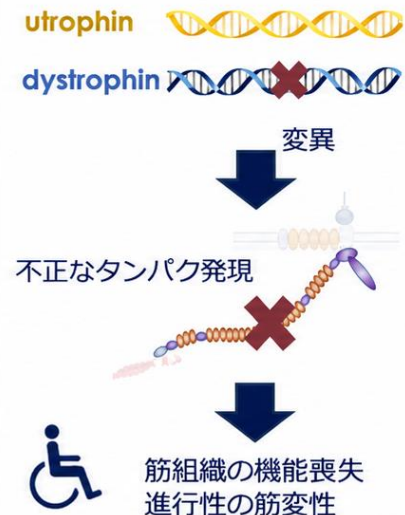
1. 成長に伴う遺伝子のスイッチ

正常な発達過程において、初期に出ている **Utrophin** から **Dystrophin** へのスイッチが生じる



2. DMDの病態メカニズム

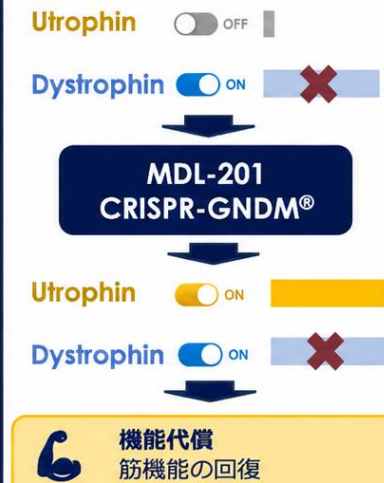
Dystrophin 遺伝子に変異があった場合に、スイッチによって病態が生じる



3. MDL-201の治療コンセプト

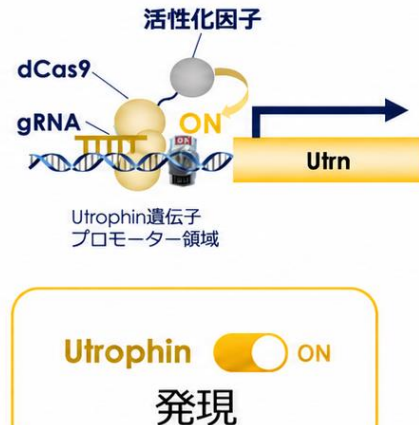
MDL-201は 内在性の **Utrophin** を再起動させ **Dystrophin** 機能を補完する

DMD患者さんの場合



4.. MDL-201の作用機序

MDL-201は **Utrophin** 発現を エピゲノム編集によって実現

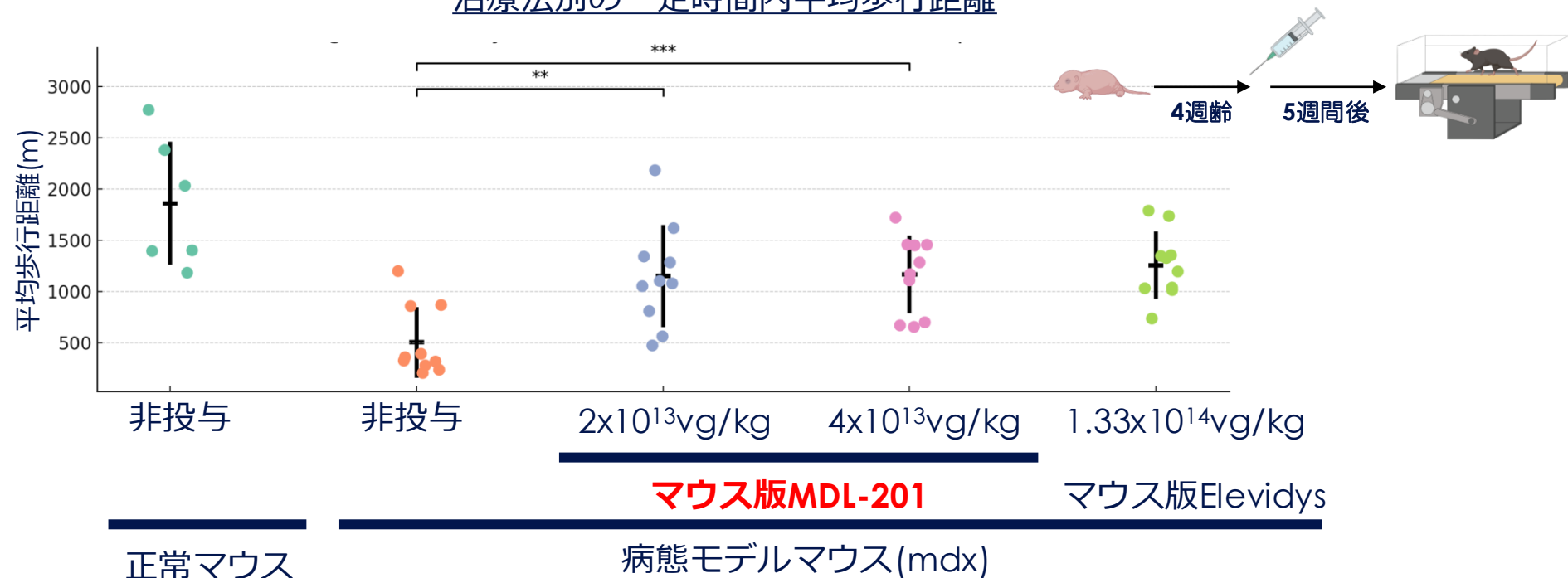


★ MDL-201は、Dystrophinの天然の機能的代替物質である内因性Utrophinを再活性化させることで、筋機能を回復させる。

MDL-201による機能改善

MDL-201はベンチマーク薬剤と同レベルの薬効を1桁下の用量で実現

治療法別の一定時間内平均歩行距離



データは平均 ± SEM で示されています。すべての治療群において、シャピロ・ウィルク検定を用いて正規性を評価。正規性検定後、BL10 Vehicle と MDX Vehicle 群の間で A と B の両群について、対応のない t 検定を実施 (### $p < 0.001$)。非パラメトリックANOVA (Kruskal-Wallis検定とDunnの事後検定を用いた多重比較) を用いて、すべての治療群をMDX Vehicle群と比較 (** $p < 0.01$; *** $p < 0.001$)。

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

supported by

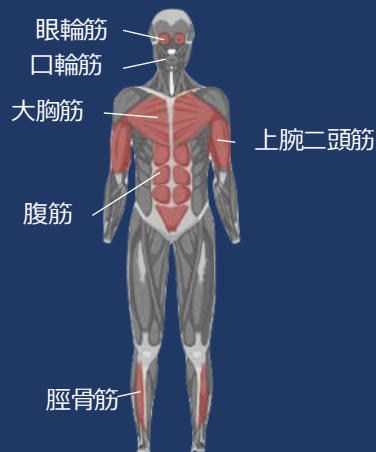


PRIZE™



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	常染色体優性遺伝, 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	

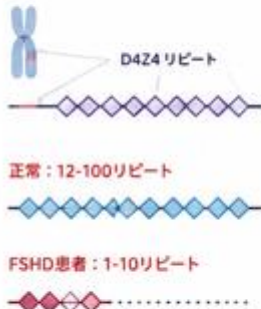
Source: <https://doi.org/10.1212/WNL.00000000000011425> Orphanet, Raymond A. Huml MD A concise guide

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

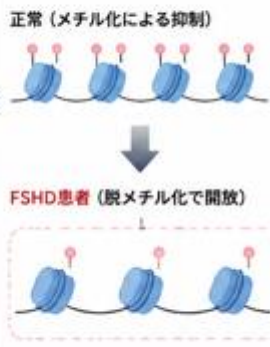
① 遺伝的背景

4q35領域のD4Z4リピートが縮小 (11リピート以下)



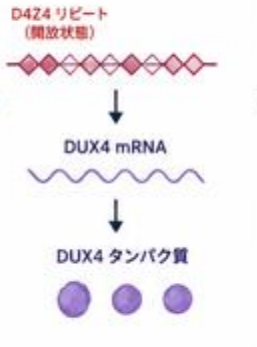
② エピジェネティックな解除 (クロマチンの開放)

リピート縮小により抑制的なエピジェネティック状態が低下



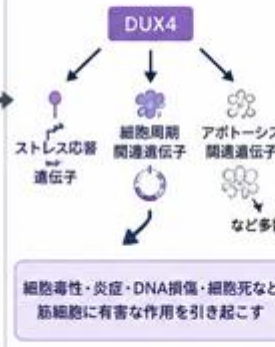
③ DUX4遺伝子の異常発現

開放されたD4Z4リピートからDUX4 mRNAが転写・翻訳される



④ 下流遺伝子の異常活性化

DUX4が多数の標的遺伝子を異常に活性化



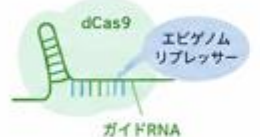
⑤ 病態の結果

筋細胞の機能障害と脱落が進行し、筋萎縮・筋力低下が起こる

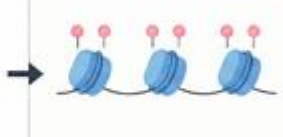


治療コンセプト: DUX4の発現を抑制する

CRISPR-GNDM®によるエピゲノム編集 (サイレンシング)



D4Z4領域のクロマチンを再び抑制状態に戻す



DUX4の発現を抑制



病態の進行を抑制・改善

- ✓ 筋細胞の保護
- ✓ 炎症・細胞毒性の低減
- ✓ 筋機能の維持・改善が期待される



凡例

- ヌクレオソーム (クロマチン)
- メチル基 (抑制マーク)
- ◇ D4Z4リピート配列
- DUX4タンパク質

作用機序
II
Dux4を
封印する

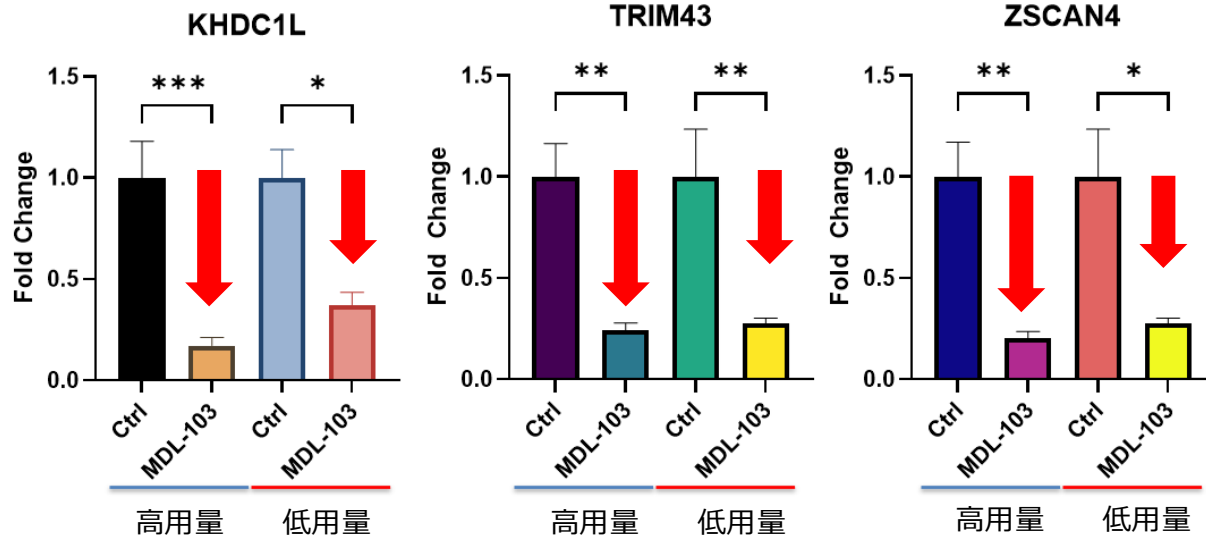
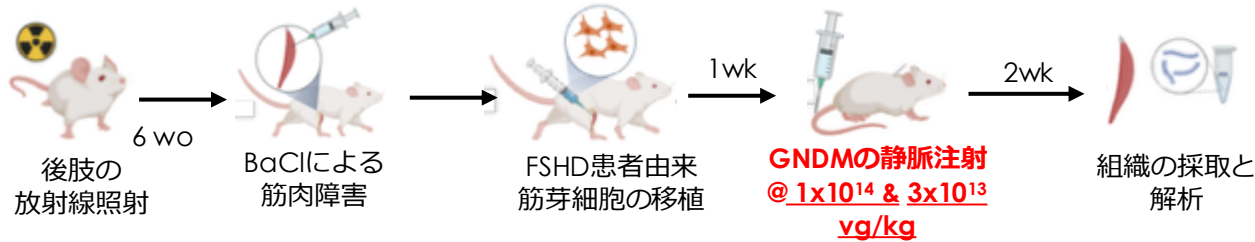


※本図は研究報告等をもとに作成した模式図であり、実際の分子機構をすべて示すものではありません。



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

CRISPR-GNDM®によって広がるさらなる成長機会

多様な疾患への展開ポテンシャルを有するCRISPR-GNDM®の、将来の価値創出機会

MDL-101によるプラットフォーム実証

送達技術の検証

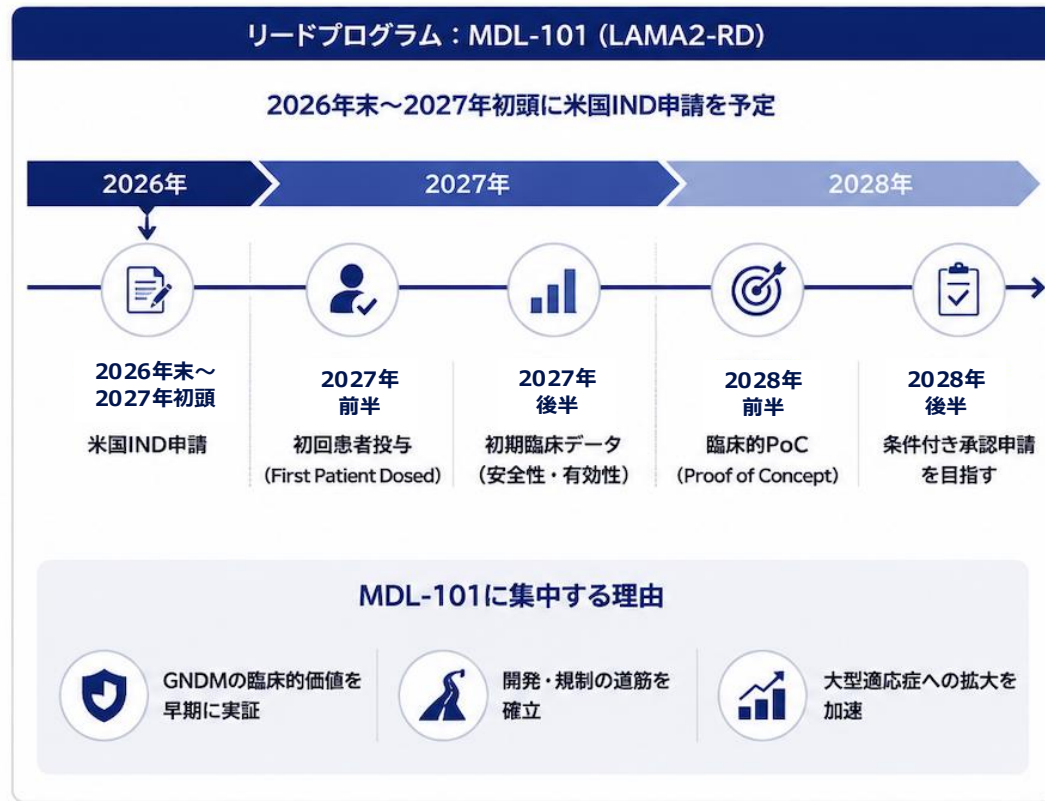
MDL-105 Titin Activation	MDL-103 Tau Suppression	MDL-205 UBE3A un-silencing	MDL-207 SCN1A Activation
 拡張型心筋症(DCM)	 アルツハイマー病	 アンジェルマン症候群	 ドラベ症候群
 ターゲット TTN (Titin) 遺伝子の活性化	 ターゲット MAPT (Tau) 遺伝子の抑制	 ターゲット UBE3A遺伝子の活性化	 ターゲット 正常SCN1A遺伝子の活性化
 科学的根拠 TTNは心筋の構造維持に重要であり、その発現低下がDCMの一因	 科学的根拠 Tauの蓄積は神経変性の進行に強く関連 GNDMによりTauを強力に抑制	 科学的根拠 母由来UBE3Aの欠損が病因 GNDMにより発現回復が可能	 科学的根拠 SCN1A遺伝子の変異により正常タンパクが減り過剰な神経興奮が生じる
 現状 心筋特異的なTTN活性化を動物モデルで確認	 現状 ICV投与での有効性を動物モデルで確認 (BBB越えの全脳デリバリーが課題)	 現状 神経細胞特異的なUBE3A活性化を動物モデルで確認	 現状 GNDMによるSCN1A上昇とてんかん症状の抑制を動物モデルで確認
 将来の価値創出機会 大規模遺伝子TTNを標的とする新たな治療アプローチとして期待	 将来の価値創出機会 BBBを通過するAAVキャプシド開発やパートナーシップにより開発可能性を追求	 将来の価値創出機会 根本的な遺伝子治療が求められる希少神経疾患への展開を目指す	 将来の価値創出機会 既存治療で十分な効果が得られない難治性てんかんへの新規治療選択肢



これらのプログラムは、CRISPR-GNDM®のプラットフォーム価値をさらに拡張し、中長期的な成長と多様な価値創出の源泉となることを目指す

現在の開発の優先順位と主要マイルストーン

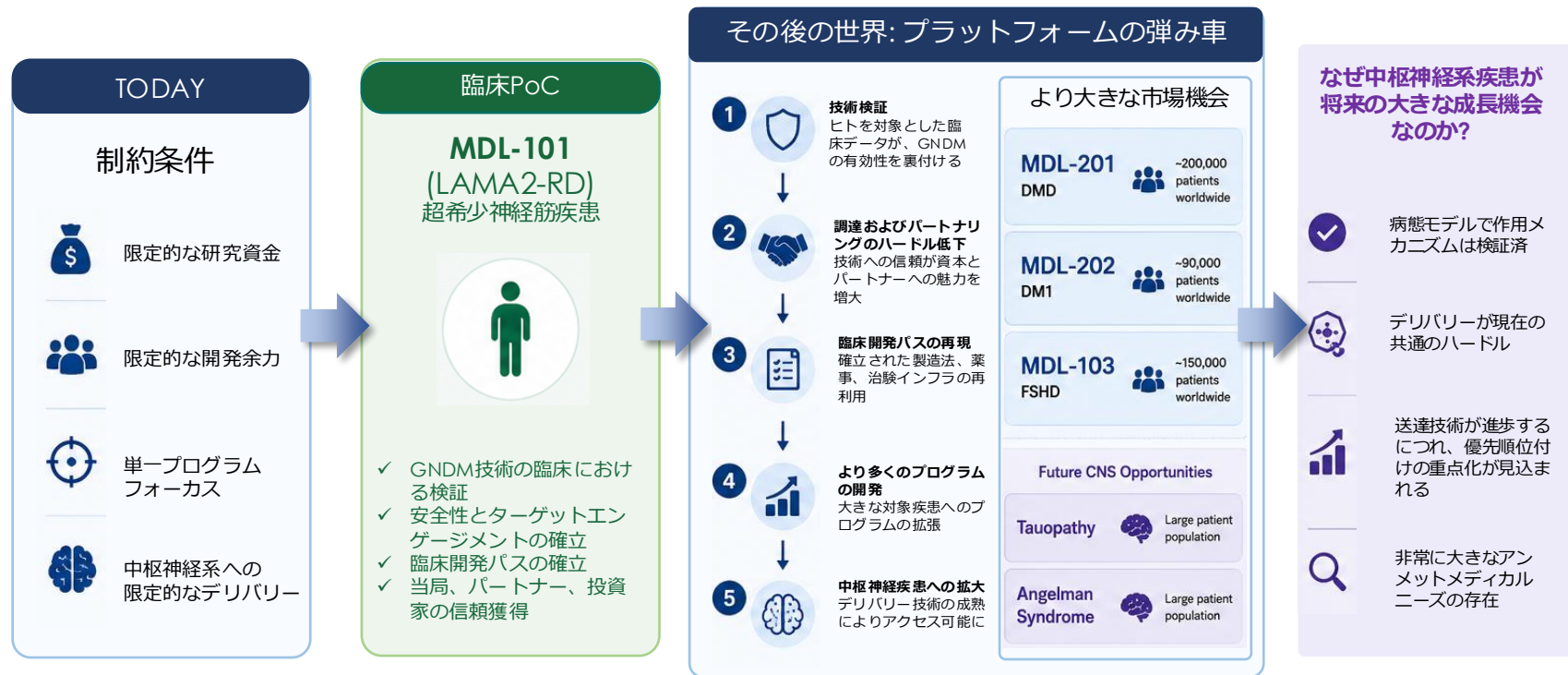
リソースをMDL-101に集中投下し、GNDMの臨床的価値を早期に実証。将来のパイプライン拡大につなげる



MDL-101の成功を足がかりに、パートナーシップや資金調達を活用し、筋疾患および中枢神経領域のプログラムを段階的に拡大していきます。

MDL-101の有効性検証から幅広いプラットフォームへの拡大へ

MDL-101の臨床的有効性実証により、資金調達、提携先、そしてリソースを確保し、多様なパイプラインを推進して長期的な価値を創出する

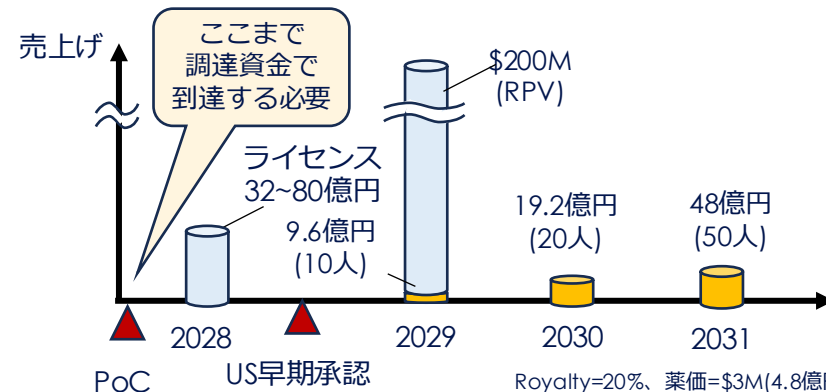
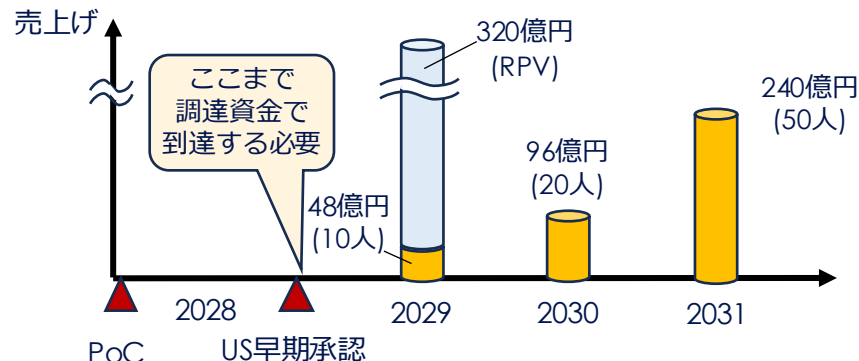
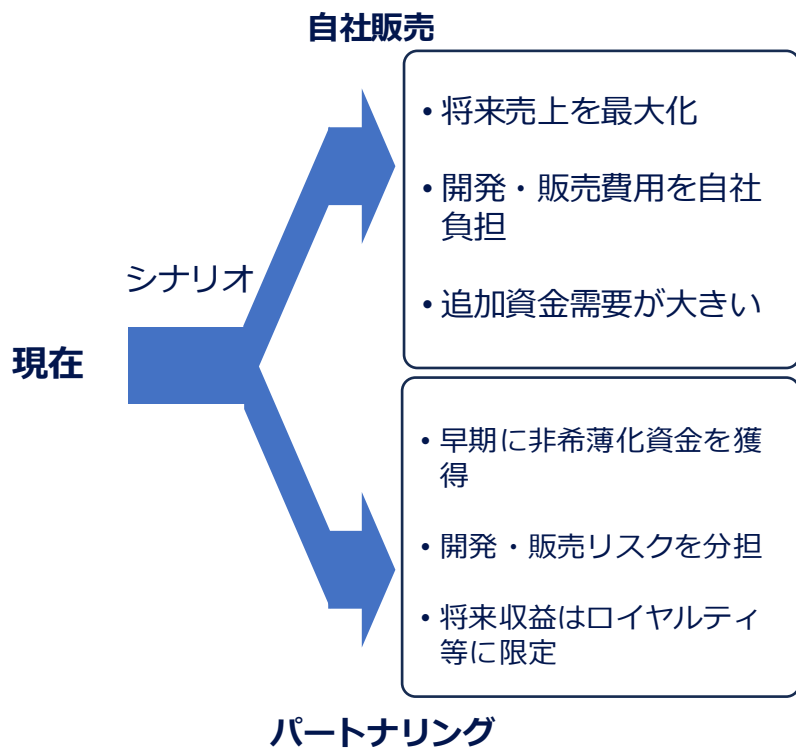


MDL-101におけるプラットフォームの有効性確認は、複数の大規模市場および中枢神経系の適応症におけるリーダーシップの確立に至るまで、当社の次の成長段階を切り拓く機会の入り口の鍵

MDL-101の開発進展に伴う価値創出機会

US製造販売承認後のRPV転売収入の破壊力は大きい

本スライドは一定の仮定に基づくシナリオ例であり、業績予想・収益保証を示すものではありません。



Royalty=20%、薬価=\$3M(4.8億円)などの推定を設定



実行中の調達資金はMDL-101のPoC取得に向けた臨床開発を推進し、CRISPR-GNDM®プラットフォーム全体の価値向上を通じて、中長期的な株主価値最大化を目指す

MODALIS バリュースタイル

次世代の遺伝子治療薬の開発

プラットフォーム: CRISPR-GNDM®

DNAを切断することなく、遺伝子の活性化および抑制を制御する

世界初

CRISPRによる遺伝子活性化治療を臨床試験に向けて開発

4

神経筋疾患を対象とした開発プログラム

2

動物種で有効性と安全性を確認

IND

にむけてMDL-101 が進捗中

競争優位性(Why it matters)

DNAを切断しない遺伝子制御

長期発現制御を実証

組織選択的デリバリーを確立

強固な知財ポートフォリオ

経験豊富なチーム

株式会社モダリス IR情報窓口

- IRウェブサイト

<https://modalistx.com/jp/ir/>

最新の決算短信や決算説明資料、説明会の案内、株主総会関連資料をご用意しております。

- IRメール配信

<https://modalistx.com/jp/ir/mailnews/>

ご登録いただいたメールアドレスに適時開示情報などをタイムリーに配信。個人投資家説明会のご案内などお知らせいたします。

- ソーシャルメディア

LinkedIn: <https://www.linkedin.com/company/modalistx/>

X: <https://x.com/modalistx>

Facebook: <https://www.facebook.com/profile.php?id=100076904997904>

IR関連のニュース他、患者さん団体向けの情報を配信いたします。

- リサーチレポート(フェアリサーチ社)

<https://fair-research-inst.jp/wp-content/uploads/2026/08/AnalystNetReport4883Modalis2026Aug14.pdf>

- お問い合わせ

<https://modalistx.com/jp/contact/>

フェアディスクロージャーの観点から個別の回答はしていませんが、ご質問の内容のうち回答の必要性があると判断されたものは、ウェブサイトや説明会の内容に反映させていただき、回答いたします。



当社IRページ



X



フェアリサーチ