2021年２月18日

各　位

会 社 名　　株式会社　モダリス
代表者名　　代表取締役社長　森田　晴彦
（コード：4883、東証マザーズ）
問合せ先　　執行役員CFO　小林　直樹
（TEL. 03-6822-4584）

＜マザーズ＞ 投資に関する説明会開催状況について

以下のとおり、投資に関する説明会を開催いたしましたので、お知らせいたします。

○ 開催状況

開催日時	2021年２月17日 15：00～15：55
開催方法	Web配信による実施
開催場所	Webで配信
説明会資料名	2020年12月期決算説明資料

【添付資料】

１．決算説明会において使用した資料

以　上

＊ この書面(添付資料を含む。)は、有価証券上場規程施行規則第427条に基づき、公衆縦覧に供されます。

2020年12月期
決算説明資料



株式会社モダリス
2021年２月12日

MODALIS

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。本資料およ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」というような表現および将来の事業活動、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。新たな情報、将来の出来事やその他の発見に照らして、将来予想に関する記述を変更または訂正する一切の義務を当社は負いません。

- 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。

- 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。

Copyright and proprietary to Modalis

目次

1. 決算状況

2. 当期のトピック

3. 成長戦略

Copyright and proprietary to Modalis

１．決算状況

Copyright and proprietary to Modalis

2020年12月期　年度業績

（百万円）

	2020年12月期 年度業績（A）	2020年12月期 年間業績予想 （B）	差異 （A）-（B）	2019年12月期 年度業績
事業収益	342	342	-	644
事業費用	740	762	△22	487
研究開発費	531	557	△26	303
販管費	208	205	3	183
営業利益	△398	△420	22	157
経常利益	△439	△463	24	146
当期純利益	△448	△471	23	140

＊事業予想は、2020年12月15日業績予想の数値

<u>事業収益</u>

・ライセンスのマイルストン１本（MDL-202）、新規共同研究開発契約１本（MDL-206）、
　共同研究開発のマイルストン３本　実現

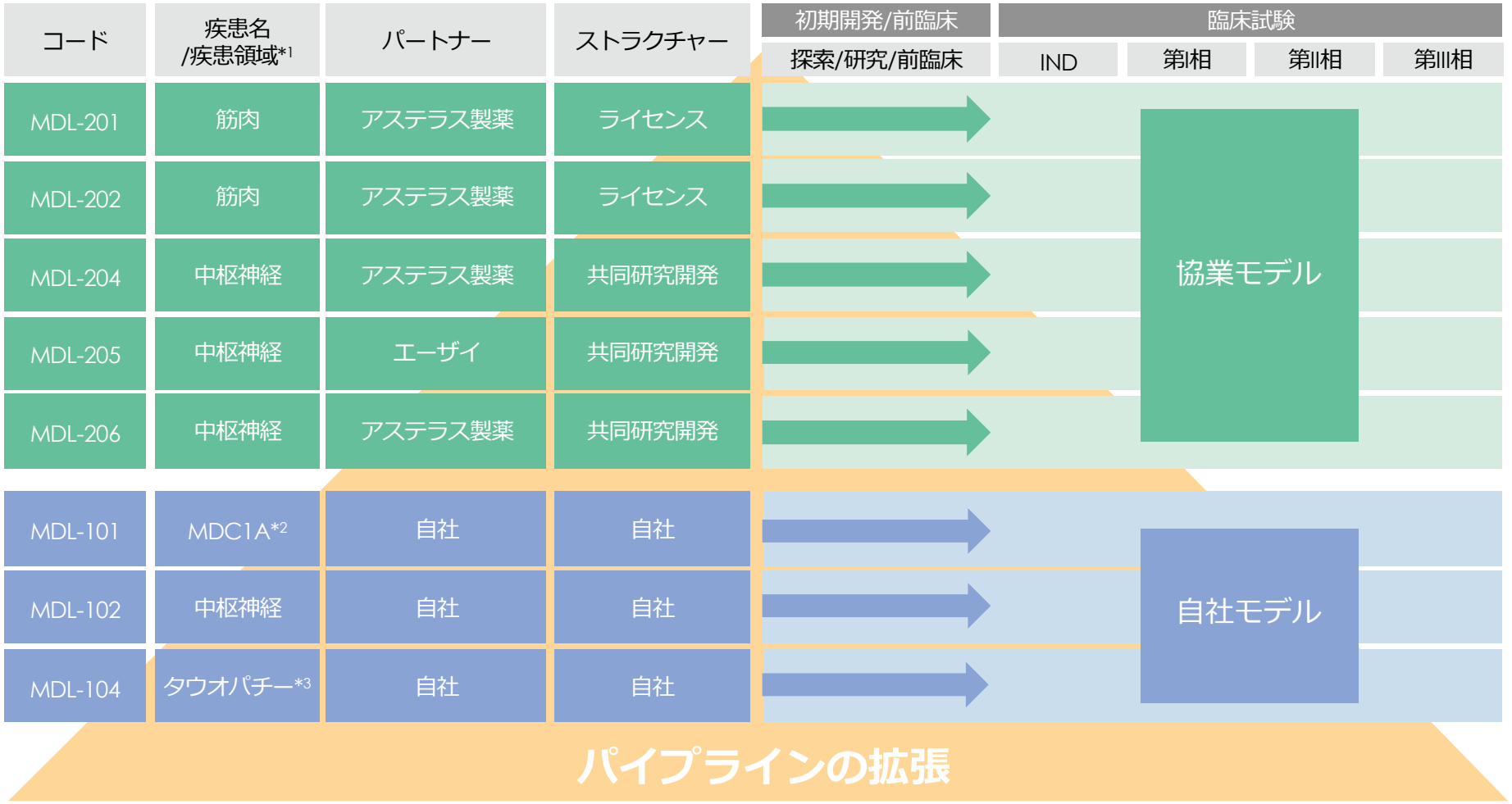
<u>事業費用</u>

・研究開発費及び販管費ともに、計画通りに推移
・事業の進捗に伴い研究開発費前期比増加（主に、人件費、試薬等の研究材料費）

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

2020年12月期末　パイプライン



*1: 具体的な適応疾患名は、出願した特許が公開されるまでは競争上の理由から非開示とする戦略を採用しており、また協業モデルパイプランは契約上で原則非開示とされているため、記載していません
*2: MDC1A=先天性筋ジストロフィー1A型
*3: タウタンパク質による神経原線維変化。アルツハイマー病との相関が示唆されている。

Copyright and proprietary to Modalis

2020年12月期末　財務状況

（百万円）

	2019年12月期末 (A)	2020年12月期末 (B)	差異 (B)－(A)
流動資産	3,874	5,448	1,573
現金及び預金	3,857	5,421	1,564
固定資産	63	828	765
特許実施権	―	767	767
資産合計	3,938	6,277	2,338
流動負債	91	58	△32
固定負債	4	11	7
負債合計	95	70	△25
純資産合計	3,842	6,206	2,364
負債純資産合計	3,938	6,277	2,338
自己資本比率	97.6%	98.9%	

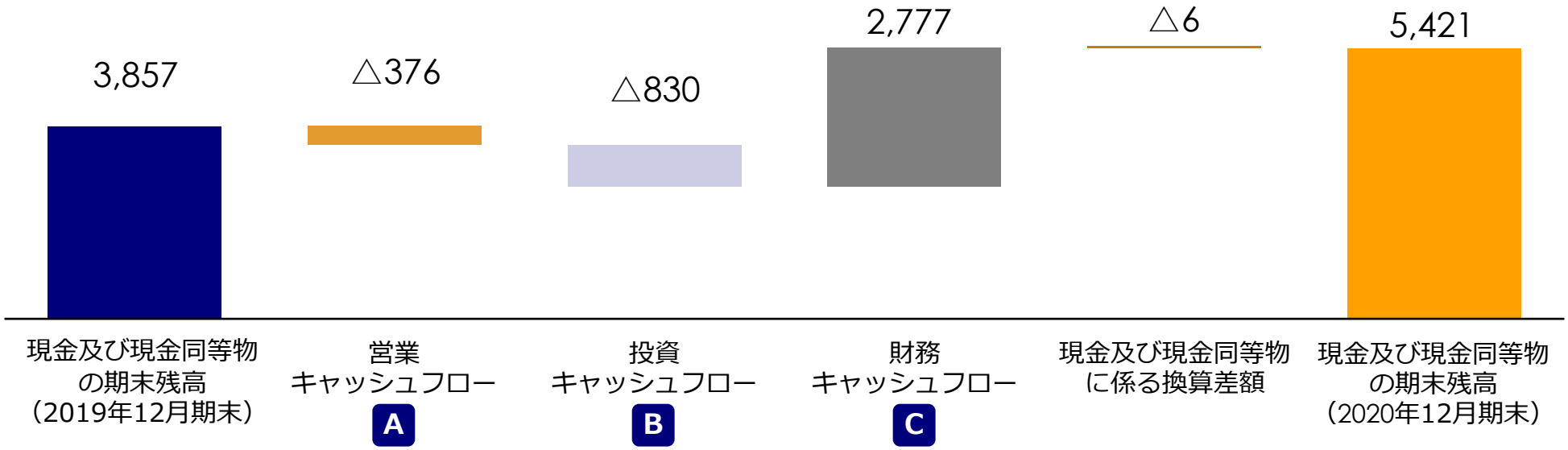
- 安定した財務基盤、高い自己資本比率
- エディタス社よりCRISPR/Cas9基本特許のライセンスを取得

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

2020年12月期末　キャッシュ・フロー状況

（百万円）



A 営業キャッシュフロー	• 税金等調整前当期純損失（△439）
B 投資キャッシュフロー	• 無形固定資産の取得による支出（△814）
C 財務キャッシュフロー	• 株式の発行による収入 （2,749） • 新株予約権の行使による株式の発行による収入 （49）

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

2．当期のトピック

Copyright and proprietary to Modalis

MDC1A(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

- 発症頻度: **1 / 30,000***
- 遺伝形式: **常染色体劣性**
- 発症時期：誕生時あるいは**生後数ヶ月以内**に明らか
- 臨床症状:
  - 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
- 平均余命
  - 重篤な臨床的問題により**思春期を越えられない**
- 遺伝的原因: **LAMA2** 遺伝子の変異

出所: 難病情報センターおよび*Flores et al, Frontiers in Molecular Neuroscience vol 13 (2020)* *Ophanetより

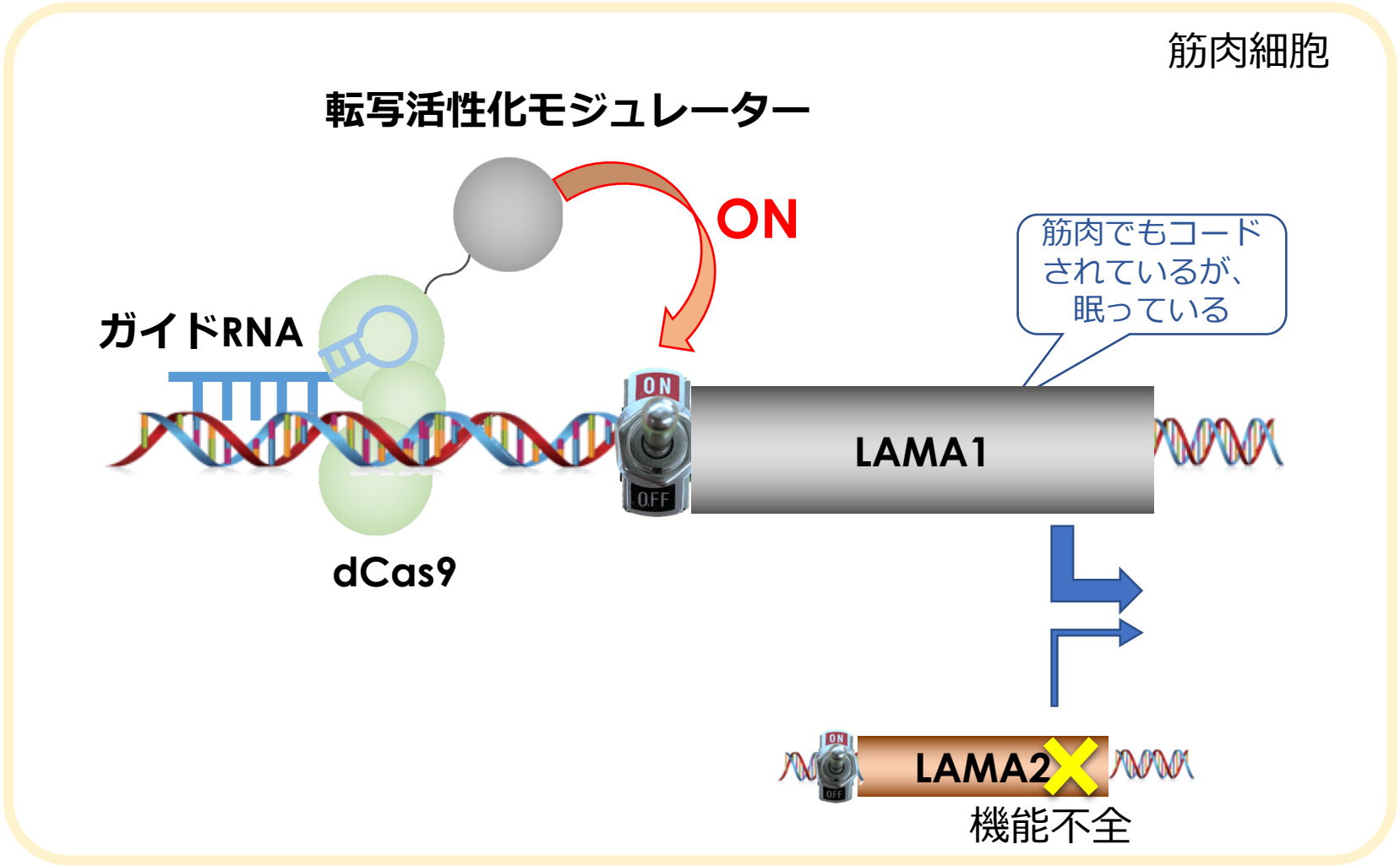
Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

ではどうやってGNDMでMDC1Aを直すか

筋肉細胞で眠っているLAMA1遺伝子のスイッチをONにする

CRISPR-GNDM® - a targeting LAMA1

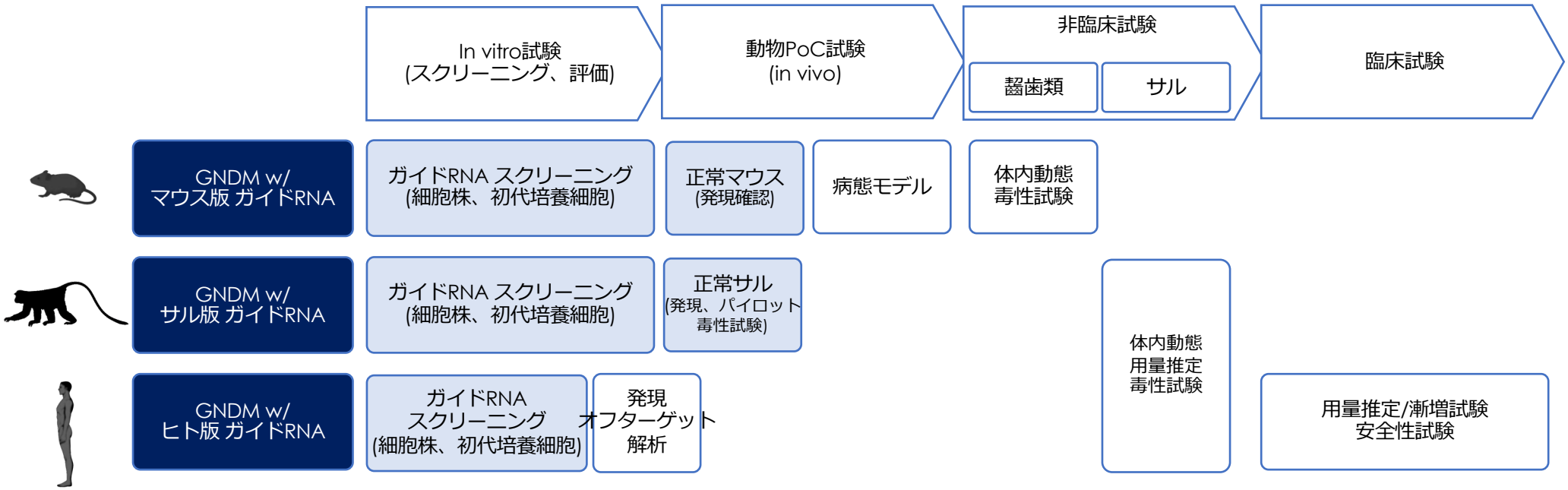


Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

MDL-101はサルの試験の進捗を持って、いよいよ非臨床試験へ

CRISPR-GNDM®の臨床までのパス



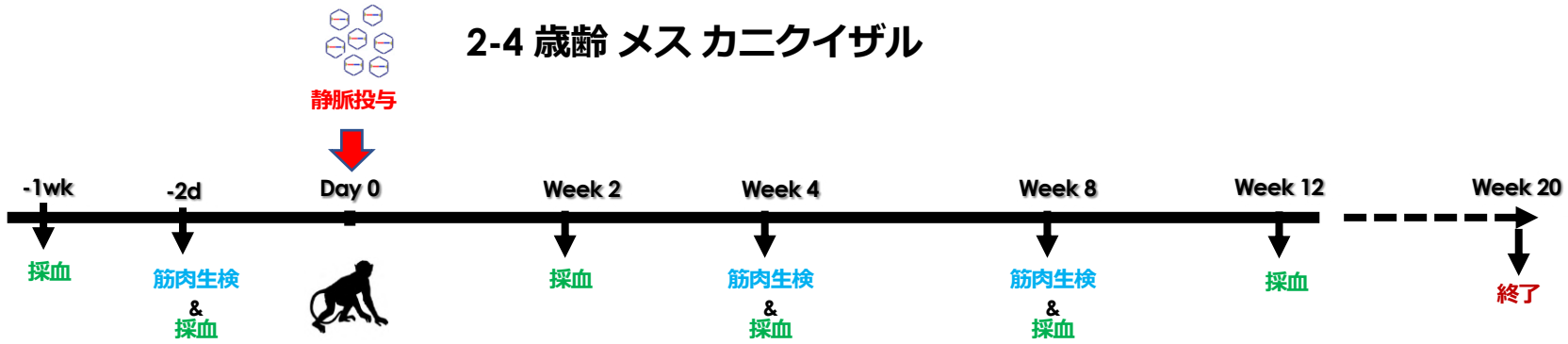
Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

サルパイロット試験の目的はGNDM分子の免疫反応の程度の確認

***MDL-101* サルパイロット試験スケジュール**

コホート	サンプル	用量 (vg/Kg)	N=
非投与	Mock	0	3
低用量	AAV – サルGNDM-LAMA1	1.1 X 10^{13}	2
高用量	AAV – サルGNDM-LAMA1	1.1 X 10^{14}	3

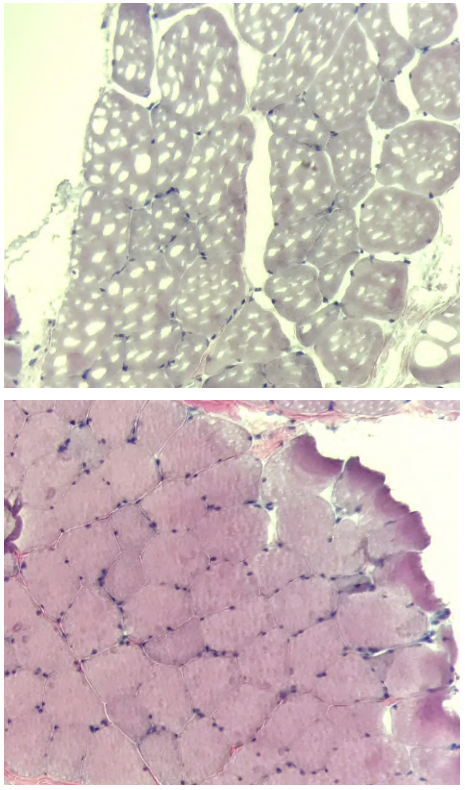


Copyright and proprietary to Modalis

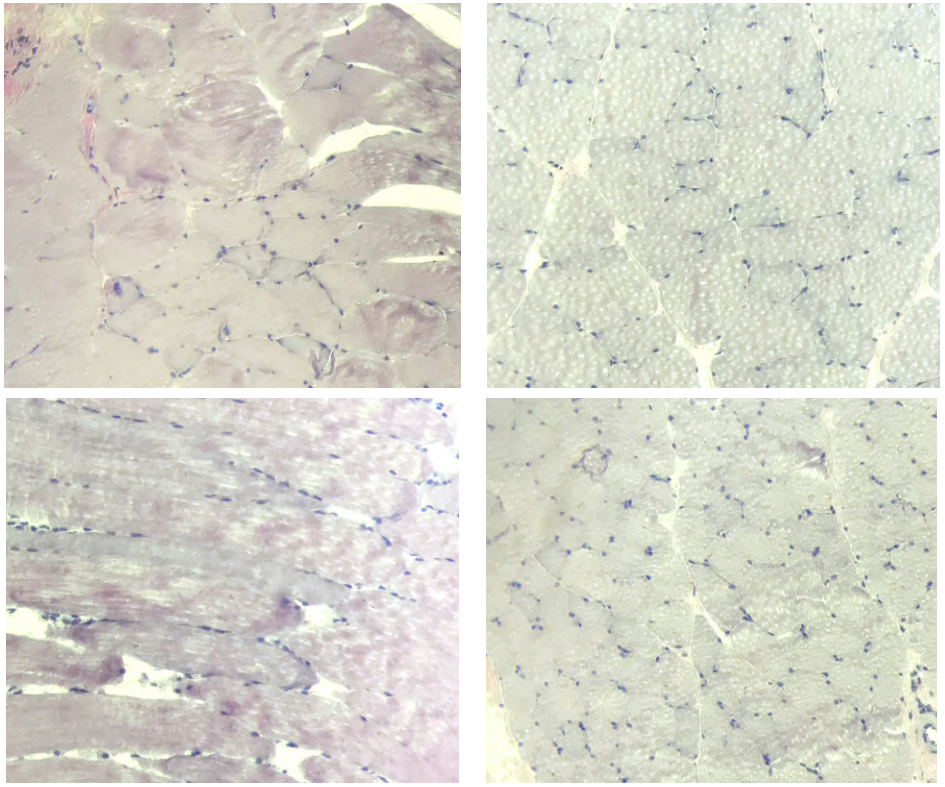
MODALIS

GNDM法の潜在的な懸念であった免疫細胞の浸潤は確認されなかった

非投与



高用量群



投与後4週

投与後8週

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

In vivo試験のまとめ

- マウス
  - LAMA-1 の誘導が骨格筋及び心筋で確認
    - CRISPR-GNDM®mRNAの発現上昇
    - 正常LAMA-2の50%程度までのLAMA-1 mRNAの発現上昇
    - GNDM/Cas9 タンパクの免疫染色での確認
    - LAMA-1 タンパクの広範な筋肉細胞における発現(免疫染色)
  - MDC1a疾患モデルマウス試験による薬効確認実施中

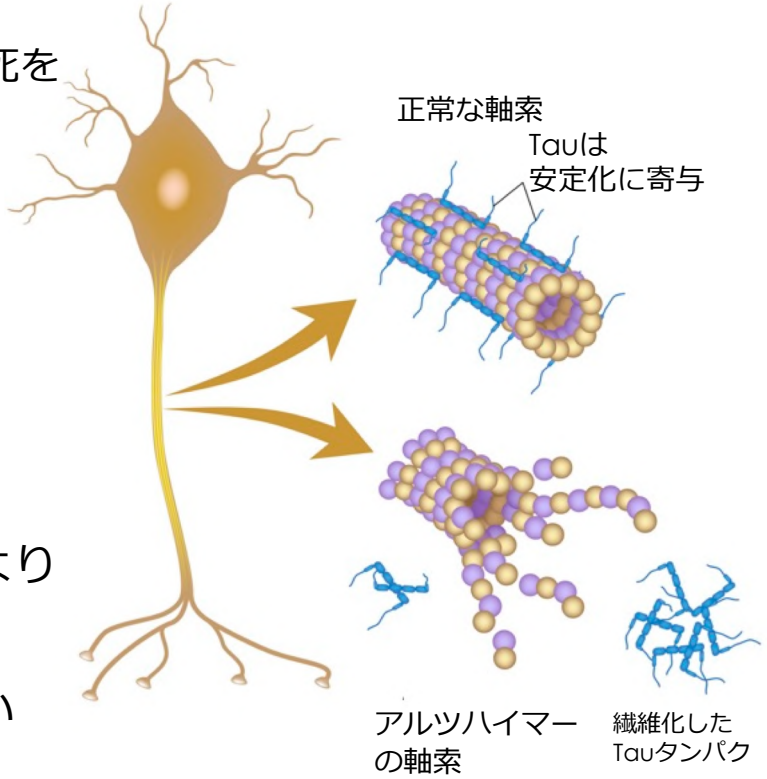
- サル
  - サル版gRNA搭載のAAV- サル MDL-101投与試験
    - ウィルスベクターの投与により想定通りのCas9に対する弱い免疫反応を確認
    - **免疫細胞の浸潤は確認されず**
    - ８週まで持続したGNDM発現を確認
    - LAMA-1 mRNA の上昇を高用量群で確認

動物試験における主な懸念点を払拭

Copyright and proprietary to Modalis

Tau(タウ)タンパクはアルツハイマー病のターゲットとして注目をあつめている

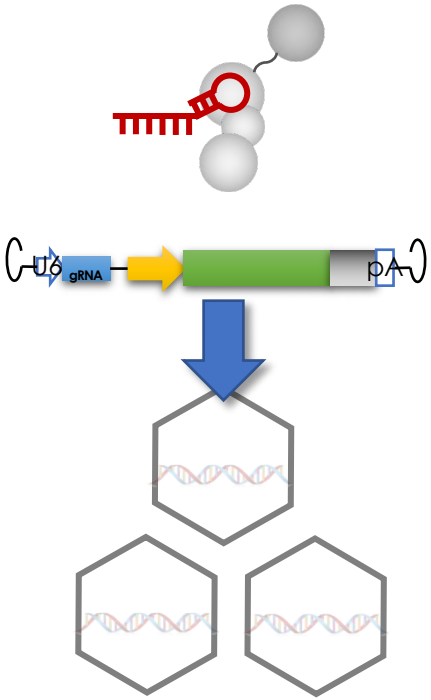
- Tauはアルツハイマーおよび他のタウオパチーにおいて症状や神経変性との相関が示されている
  - Tauの凝集や繊維化は神経変性、シナプスの喪失、神経細胞死を誘導すると考えられている
  - タウオパチーは多くの重要な疾患を含む
    - AD (Alzheimer's Disease: アルツハイマー病)
    - FTLD (Frontal Lobar Degeneration:前頭側頭葉変性症)
    - PSP (Progressive Supranuclear Palsy:進行性核上性麻痺)
    - CBD (Corticobasal Degeneration:概要大脳皮質基底核変性症)
    - Pick's disease (ピック病)
- TauはAβよりも臨床的障害とよりよく相関するため、Aβよりも優れた標的である可能性が高い
- Tauの遺伝子ノックアウト(欠失)は目立った障害を示さない
- したがって、Tau遺伝子の抑制は合理的な治療薬開発アプローチであるといえる



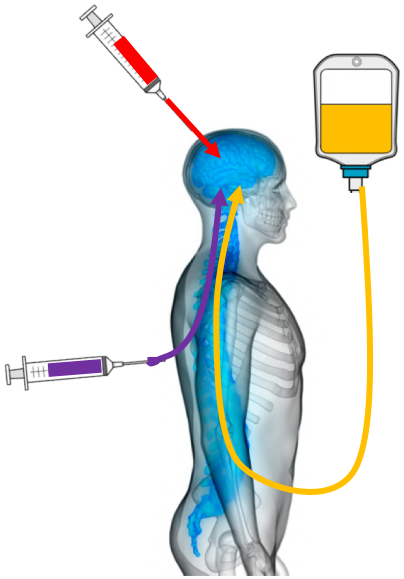
出典: *Congdon EE*, Nature Review Neurology 2018 "Tau-targeting therapies for Alzheimer disease"

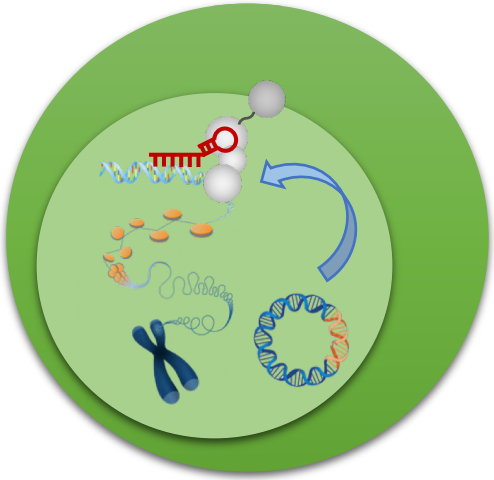
Copyright and proprietary to Modalis

CRISPR-GNDM® の投与によってTau遺伝子の抑制が可能



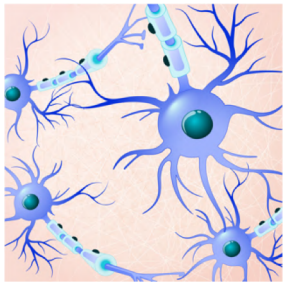
AAVベクター



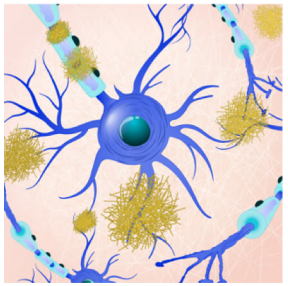


導入された遺伝子は
ゲノム外で発現

GNDM投与



GNDM非投与
(AD)



1. CRISPR-GNDM®をAAVにパッキング
2. 髄腔内/頭蓋内/静脈投与
3. CRISRP-GNDM®がTauを遺伝子レベルで抑制
4. Tauの抑制が神経変性を防ぐ

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

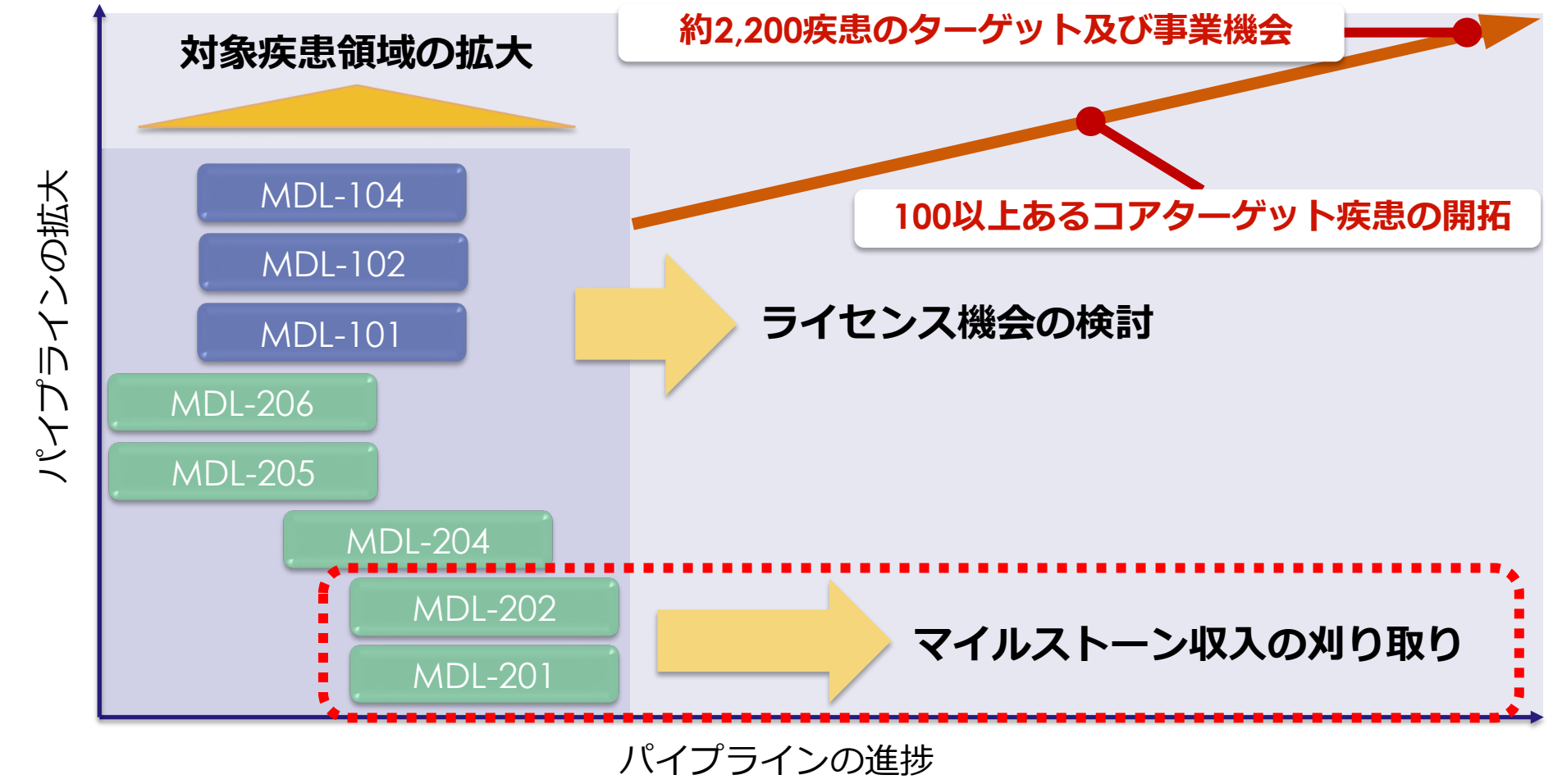
3．成長戦略

Copyright and proprietary to Modalis

成長戦略

パイプラインの拡大と進捗で成長余地は豊富

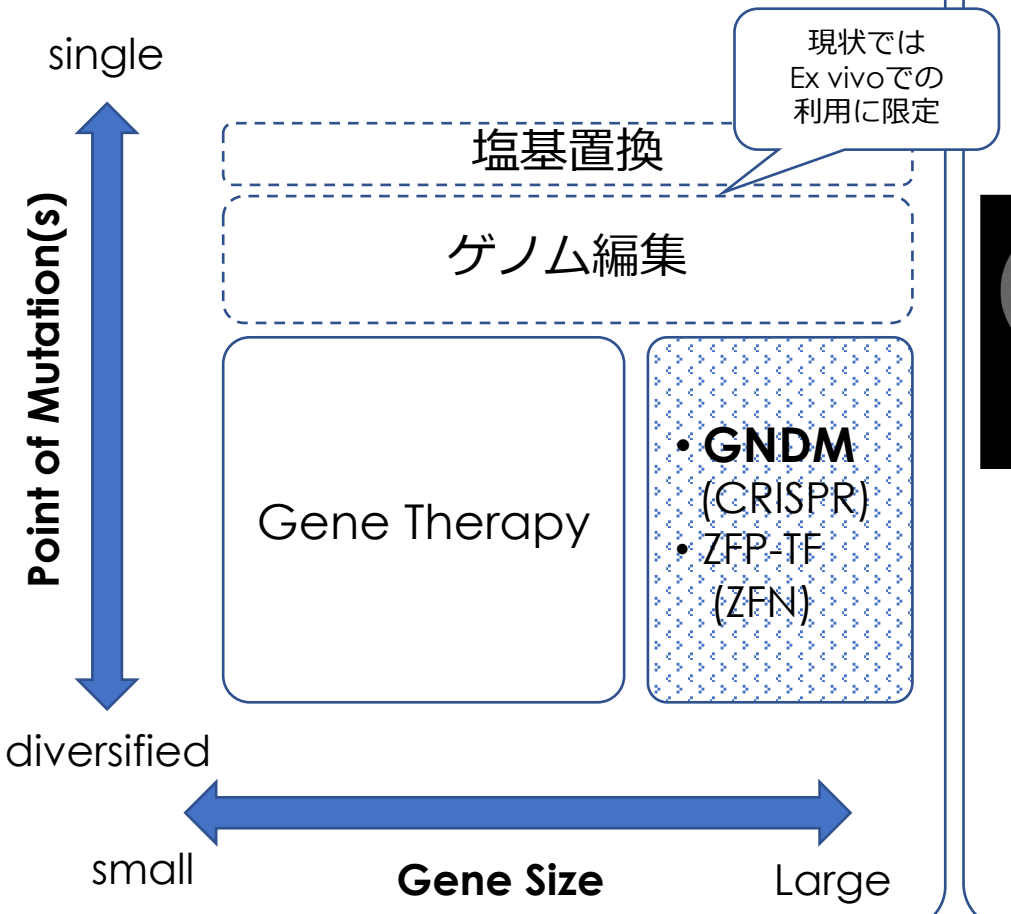
当社パイプラインの今後の展開



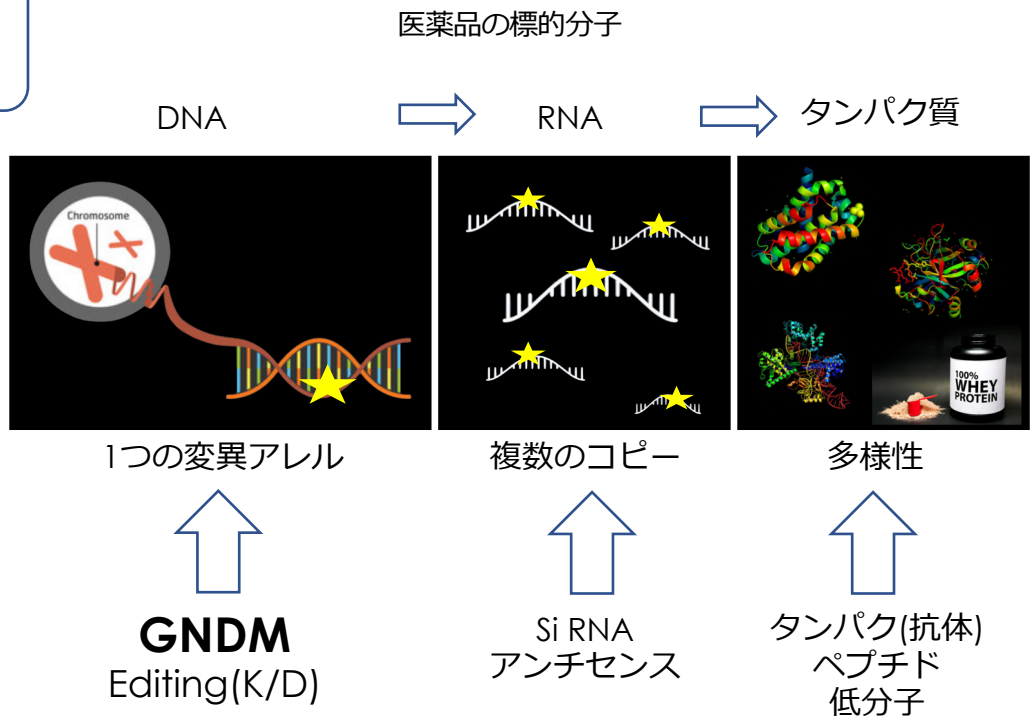
Copyright and proprietary to Modalis

GNDMは機能喪失、異常機能獲得変異に対して有効なアプローチ

正常機能の喪失でおこる疾患に対して



異常機能の獲得で起こる疾患に対して

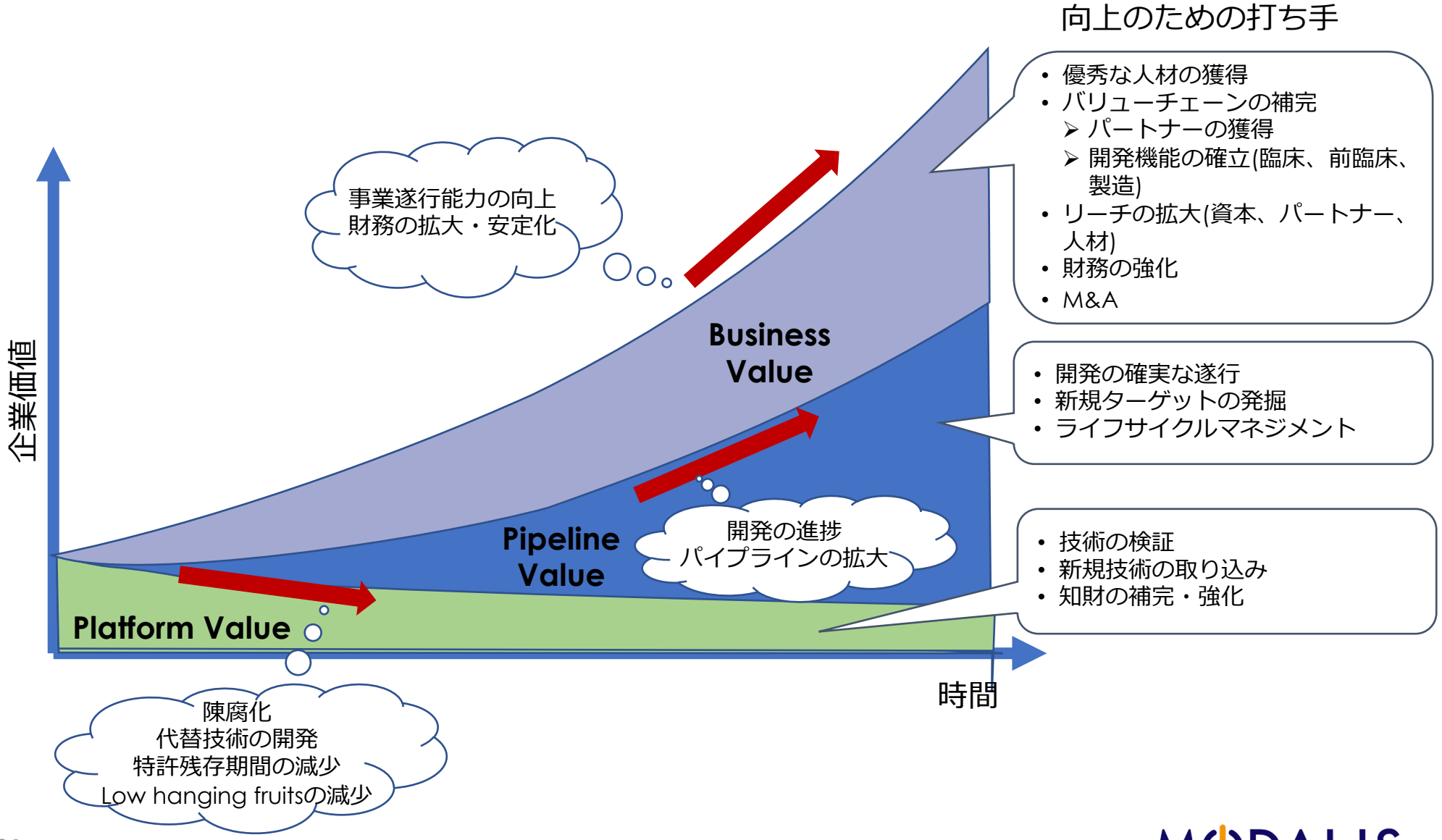


K/D: Knock-down

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

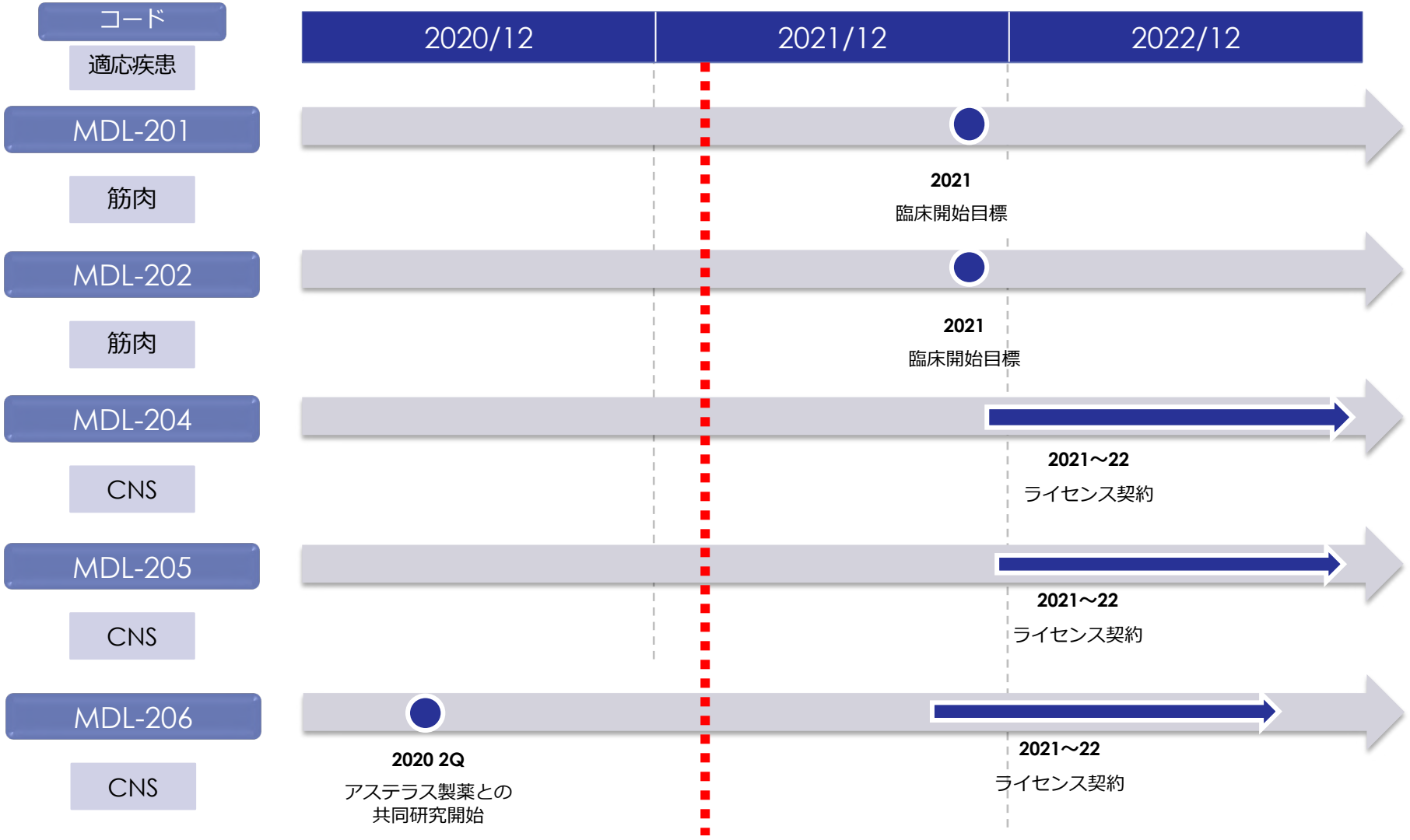
Modalisの企業価値の構成と拡大のための施策



Copyright and proprietary to Modalis

協業モデルパイプライン

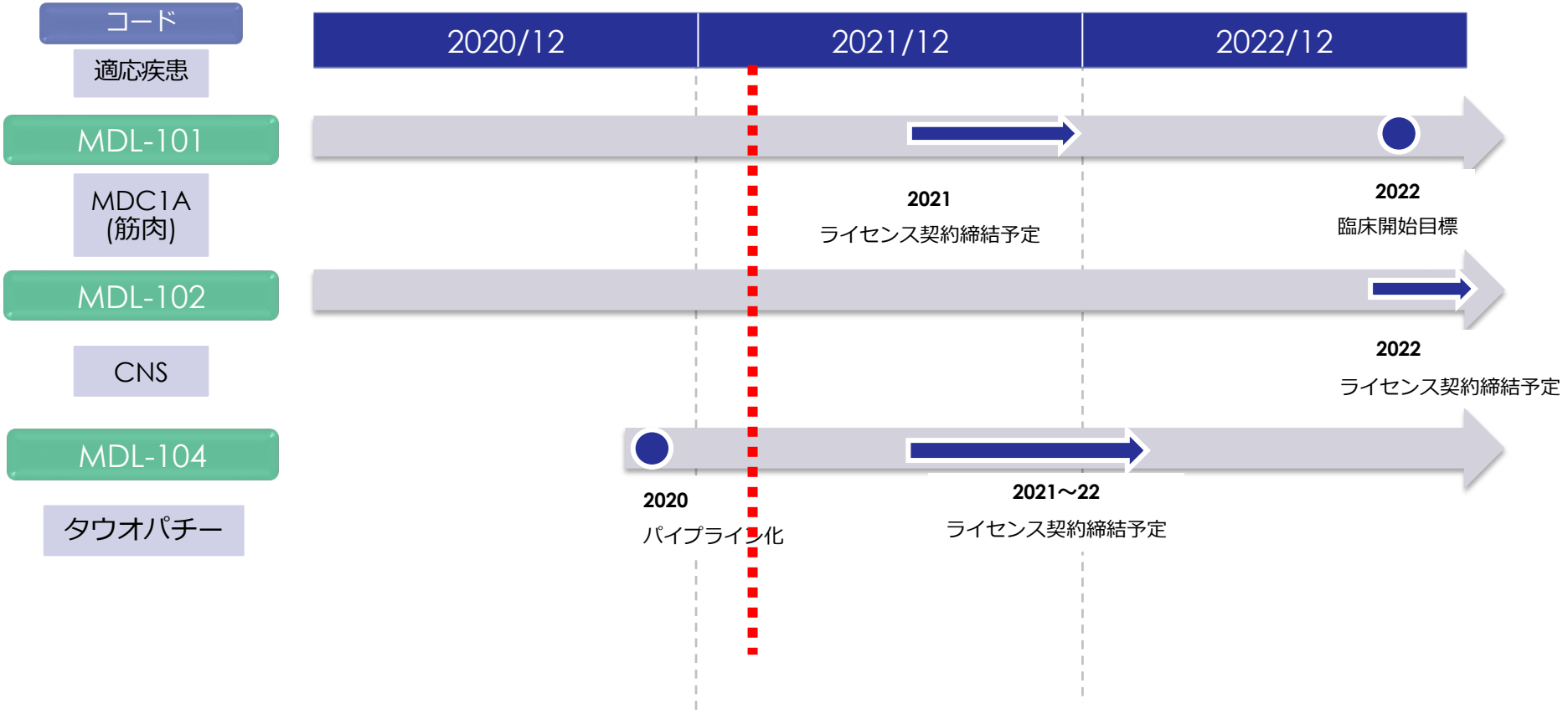
直近の達成イベントと予定されるマイルストーンイベント*



*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

Copyright and proprietary to Modalis

自社モデルパイプライン
予定されるマイルストーンイベント*



*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

Copyright and proprietary to Modalis

MODALIS

2021年12月期　業績予想

- 2021年12月期の業績予想につきましては、現時点で合理的な業績予想の算定ができないことから、開示しておりません。

- 当社の事業はパートナーとの交渉により進捗すること、ライセンスの契約一時金の事業収益によって当社の業績が大きく変動すること、新たなパートナーとの提携の可能性や新規のパイプラインの獲得の可能性等、当社の事業上の特性として現時点では業績に与える未確定な要素が多いことから、今後の見通しについては、適正かつ合理的な数値に算出が困難であると考えており、通期の業績予想は開示を見合わせることにしました。
なお、今後の事業進捗を踏まえて、合理的な開示が可能となりましたら速やかに開示いたします。

Copyright and proprietary to Modalis