2024年4月30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）

グローバル細胞遺伝子治療サミット[注)]における MDL-101 の前臨床データなど発表に関するお知らせ

2024年7月8日から10日にかけて米国ボストンで開催されるグローバル細胞遺伝子治療サミットにおいて、当社の CSO である山形哲也が Oral Presentation に採択され、Gene Editing Breakthroughs & Therapeutics Approach セッションにおいて研究成果を発表します。
本学会では、MDL-101 の前臨床データなど以下の内容の発表を予定しています。

- 先天性筋ジストロフィー1a 型（MDC1A、別名 LAMA2-CMD）に対する差別化されたプレシジョン・メディシンである MDL-101 のプロダクトコンセプトおよびその合理性
- マウスおよびサルにおける前臨床試験データによる有効性の裏付け
- 当社が世界で先行する CRISPR を用いたエピジェネティック編集技術が、重篤な遺伝子疾患に対する治療アプローチとして臨床効果を示す可能性について

山形哲也博士は、「当社の CRISPR-GNDM®技術は、遺伝子の発現レベルを制御し、遺伝子疾患の根本的治療を実現する技術です。その技術を用いた MDL-101 は、新規な革新的治療法となる可能性が強く示唆されています。現在、2024年末までの IND 申請に向けて開発を進めており、本学会では、有効性を示したマウスおよびサルのデータを共有し、臨床における治療効果について議論します。」と述べています。

注) グローバル細胞遺伝子治療サミット(Cell and Gene Therapy: CGT）（URL:https://cgtsummit.com）

当社の発表一覧は以下の通りです。

口頭報告:

演題名: Epigenetic Editing with CRISPR-GNDM®: Novel Muscle-tropic AAV Vectors Deliver Promising Single-dose Treatment for LAMA2-CMD
日時: 2024年7月8日 10-12AM EST (TBD)
セッション名: Gene Editing Breakthroughs & Therapeutics Approaches

注) グローバル細胞遺伝子治療サミットについて
細胞遺伝子治療は様々なコンディションのアンメットメディカルニーズに応えることができる革新的な新規治療法として急速に発展している。しかし、細胞遺伝子治療は既存のモダリティと比べ、高価かつ精緻なコントロールが要求されるため、患者へのアクセサビリティと産業利用の観点で課題を抱えている。そこで、本学会では、アカデミアそして産業界のグローバルリーダーが集い、最新の技術開発状況、マーケット戦略、社会への影響、道徳的配慮等、細胞遺伝子治療の商業化について意見交換を行い、アカデミアと産業界のパートナシップの促進と細胞遺伝子治療の産業利用を促進します。

以　上