2025年1月24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）

LAMA2-CMD特許、日本で成立のお知らせ

- 当社が開発し、出願した特許出願「LAMA1 遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療方法」が日本で特許査定。
- 当社独自の CRISPR-GNDM®によるエピゲノム編集技術を用いた先天性筋ジストロフィー1a 型（LAMA2-CMD）に対する遺伝子治療薬、MDL-101に関連する特許

当社のMDL-101に関連する特許出願(特願2022-50966)が、日本特許庁から査定の通知を受けましたのでお知らせします。

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、モダリスが独自に開発したCRISPR-GNDM®を用い、二本鎖DNA切断を導入することなく、筋肉組織全体においてLAMA2遺伝子の姉妹遺伝子、LAMA1の有意かつ選択的な発現誘導により、欠損したLAMA2タンパク質の機能補完が期待される革新的治療薬になる可能性を秘めています。

今回査定を受けた特許発明においては、LAMA1遺伝子の発現上昇をもたらすCRISPR-GNDM® アプローチによる治療法を主張しており、これが特許として認められた事実は、その新規性と進歩性が支持されたことによると当社は考えます。当社のリードプログラムに関連する特許がこうして日本で認められたことにより、先に米国において査定を受けたオーファン認定などと共に、MDL-101の事業を守る礎となる強固な知的財産権を確立することになると考えます。また今回の主要国の1つである日本において査定が受けられたことで、今後他の主要国でも特許成立が期待されると考えます。

モダリスは*Every life deserves attention*（すべての命に、光を）をコーポレートスローガンに、治療薬のない病気に苦しむ患者さんに治療薬をお届けできるよう、一日も早い製品化を目指しています。

以　上