2025年7月15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）

第6回ゲノム編集治療サミットにおける、CRISPR-GNDMによる標的遺伝子発現誘導プログラムの前臨床データ発表に関するお知らせ

2025年9月29日から10月1日にかけて米国ボストンで開催される第6回ゲノム編集治療サミットにおいて、当社の発表がOral Presentationに採択され、Optimizing CRISPR Technologies to Progress Epigenome Editorsセッションにおいて研究成果を当社のCSOである山形哲也が発表します。本学会では、当社エピゲノム編集技術（CRISPR-GNDM®）の競合優位性と標的遺伝子の発現誘導に特化した独自プログラムMDL-101（対象疾患：先天性筋ジストロフィー1A型）とMDL-201（対象疾患：デュシェンヌ型筋ジストロフィー）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。

- Cas9を用いた*In vivo*エピゲノム編集による標的遺伝子の発現誘導の有効性及び持続性の実証
- 筋特異的AAVキャプシドによるデリバリーシステムがもたらす組織指向性及び送達の効率化
- 持続的なCas9発現下における免疫原性と良好な毒性プロファイルによる安全性の裏付け

山形哲也医師・博士は、「近年、世界で初めてCRISPRを用いたゲノム編集治療を受けた患者の症例が報告され、*ex vivo*および*in vivo*の多様な技術が臨床応用へと進展しつつあります。これにより、遺伝子疾患の治療におけるゲノム編集の可能性が大きく広がっています。中でもエピゲノム編集は、DNAを切断せず遺伝子の発現を調節するため、安全性が高いと期待されており、臨床試験入りしたプログラムも登場し、次世代の遺伝子制御技術として世界的に注目を集める分野となっています。このような中で開催される第6回ゲノム編集治療サミットにおいて、当社が先駆的に開発してきたCRISPR-GNDM®技術および、標的遺伝子の発現誘導に特化した独自のプログラムMDL-101やMDL-201に関する前臨床データを発表できることを大変光栄に思います。」と述べています。

当社の発表一覧は以下の通りです。

口頭報告:

演題名: Movement Toward the Clinic: Preclinical Development of Gene Activation programs with CRISPR-GNDM® platform
日時: 2025年10月1日 11:45 AM EST
セッション名: Optimizing CRISPR Technologies to Progress Epigenome Editors

注) 第6回遺伝子編集治療サミット (URL;https://genome-editing-therapeutics-summit.com)
新規ゲノム編集治療法の開発・応用・提供をリードする業界屈指のプレイヤーが集う会議です。本学会ではゲノム編集治療の産業界リーダーが開発段階にある最先端の治療法に関する最新データ等を共有し、ゲノム編集治療法が直面する課題克服と産業利用促進を目的に口頭発表、パネルディスカッション、そしてワークショップ等が予定されています。

以上