



2026 年 10 月 20 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-RD 治療に関する MDL-101 特許、日本で特許査定のお知らせ

- 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 (Method for Treating Muscular Dystrophy by Targeting LAMA1 Gene)」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 LAMA2 関連筋ジストロフィー (LAMA2-RD) に対する治療薬候補、MDL-101 に関連する特許

当社の MDL-101 に関連する日本特許出願（公表番号：特表 2026-519313）について、日本国特許庁（JPO）より特許査定の通知を受領しましたのでお知らせします。本特許出願の発明名称は「LAMA1 遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療方法」であり、今後、所定の手続きを経て日本特許として成立する見込みです。

なお、本出願は日本国特許庁の早期審査制度を利用して審査され、今回の特許査定に至りました。また、米国における対応特許出願についても、特許審査ハイウェイ（Patent Prosecution Highway：PPH）制度を利用した審査手続きを進めています。

LAMA2 関連筋ジストロフィー（LAMA2-RD）は、筋細胞を取り囲む細胞外マトリックスの構成要素であるラミニン $\alpha 2$ 鎖をコードする LAMA2 遺伝子の変異によって引き起こされる遺伝性疾患です。ラミニン $\alpha 2$ 鎖の欠損や機能低下によって、筋力低下や筋緊張低下をはじめ、関節拘縮や呼吸機能障害など、さまざまな症状を呈します。

当社が開発する MDL-101 は、独自の CRISPR-GNDM®エピゲノム編集技術を用いて、DNA 配列を切断・改変することなく、LAMA2 遺伝子と構造的・機能的に類似する LAMA1 遺伝子の転写を選択的に活性化する治療薬候補です。通常、成熟した骨格筋ではほとんど発現していない LAMA1 遺伝子を活性化することで、ラミニン $\alpha 1$ 鎖の発現を誘導し、欠損または機能低下したラミニン $\alpha 2$ 鎖の機能を補完することを目指しています。

LAMA1 および LAMA2 遺伝子はサイズが大きく、遺伝子全長を AAV ベクターに搭載することができません。また、非ウイルス性の遺伝子送達技術では、全身の骨格筋に効率的に遺伝子を送達することが依然として課題となっています。このため、従来の遺伝子補充療法による LAMA2-RD の治療薬開発

には技術的な制約がありました。MDL-101 は、遺伝子そのものを補充するのではなく、CRISPR-GNDM®によって内在性 LAMA1 遺伝子の発現を持続的に活性化するという独自のアプローチにより、LAMA2-RD に対する新たな治療選択肢となる可能性があると考えています。

今回査定を受けた特許発明は、LAMA1 遺伝子を標的とし、その発現を制御することによる筋ジストロフィーの治療方法に関するものです。当社は、日本における本発明の特許査定が、CRISPR-GNDM®を用いた LAMA2-RD 治療アプローチの知的財産基盤を強化するとともに、MDL-101 の将来的な事業価値を保護する上で重要な意味を持つものと考えています。

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