



2024年6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 経営管理部長 小林 直樹
(TEL. 03-6822-4584)

第5回次世代遺伝子治療免疫原性サミット[※]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8月20日から22日にかけて米国ボストンで開催される第5回次世代遺伝子治療免疫原性サミットにおいて、当社のCSOである山形哲也がOral Presentationに採択され、Talking Immunogenicity For Gene Edited Product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 (CRISPRを用いたエピゲノム編集技術)の免疫応答の忍容性、および持続的な治療効果を示すデータなど、以下の内容の発表を予定しています。

- ・ CRISPRを用いたエピゲノム編集技術が内因性の標的遺伝子を活性化するメカニズム
- ・ MDL-101 全身投与マウスおよびサルにおける改変型ウィルスベクターおよび導入遺伝子産物の免疫応答の忍容性と、持続的な治療効果に関するデータ
- ・ MDL-101の臨床試験に向けた計画と戦略

山形哲也医師・博士は、「当社のCRISPR-GNDM[®]技術は、ゲノム上からの遺伝子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を投与したマウスおよびサルは忍容性のある免疫応答により持続的な治療効果を示しました。これは外来性タンパク質を発現するベクターの全身投与の安全性を強く示すデータであり、MDL-101がLAMA2-CMDに対する革新的治療法となる可能性と同時に、CRISPR-GNDM[®]が全身性の遺伝性疾患に対する画期的な基盤技術として適用可能であることを強く示唆しています。」と述べています。

[※] 第5回次世代遺伝子治療免疫原性サミット(5th Annual Gene Therapy Immunogenicity Summit) (URL;
<http://genetherapy-immunogenicity.com>)

当社の発表一覧は以下の通りです。

口頭報告:

演題名: Counter-balanced immune response against Cas9-mediated epigenetic modulation induces durable therapeutic efficacy

日時: 2024年8月22日 12PM EST

セッション名: Talking Immunogenicity For Gene Edited Product

[※] 第5回次世代遺伝子治療免疫原性サミットについて

安全で効果的な遺伝子治療開発においてAAVウィルスベクターと導入遺伝子の免疫原性は課題の一つである。本学会では毒性学、免疫学の専門家が参加し、前臨床から臨床開発における免疫反応の予測、測定、緩和に関して最新の研究成果についてのフォーカスされた議論が予定されています。本学会を通して、遺伝子治療の免疫反応全般を深く理解し、規制当局の期待に沿って安全に臨床を進めるための効果的なアプローチについて、学びを共有することで遺伝子治療の産業利用を促進します。

以上