



2024年9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)

**第5回ゲノム編集治療サミット<sup>※</sup>における  
エピゲノム編集技術 (CRISPR-GNDM<sup>®</sup>) と MDL-101 の臨床開発に向けた前臨床データ  
など発表に関するお知らせ**

2024年12月3日から5日にかけて米国ボストンで開催される第5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、Progressing Epigenome Editors into the Clinic 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<sup>®</sup>) の競合優位性とそれをういた MDL-101 (対象疾患: 先天性筋ジストロフィー1a型) の臨床試験に向けた前臨床データなど以下の内容の発表を予定しています。

- ・ 疾患モデルマウス及びサルにおける標的遺伝子の持続的な活性化とそれに伴う有効性データと、臨床試験での効果を示唆する前臨床試験データ
- ・ 筋肉特異的改変型 AAV ベクターに適応した製造プロセスの概略とアウトカム
- ・ 規制当局からの要請に沿った前臨床、臨床試験の計画と戦略
- ・ エピゲノム編集技術 (CRISPR-GNDM<sup>®</sup>) と組織特異性 AAV ベクターの組み合わせによって実現された幅広い疾患領域 (神経筋疾患、心臓疾患、そして中枢神経系疾患) におけるアプリケーションの実例と、競合優位性についての考察

山形哲也医師・博士は、「CRISPR/Cas9 技術のデビューから12年目を迎え、従来の CRISPR/Cas9 を用いたゲノム編集技術に加え、一塩基編集技術、プライム編集技術、そしてエピゲノム編集技術など様々な革新的なゲノム編集治療法の開発が進んできました。新規ゲノム編集治療法を開発するリーディングカンパニーが一堂に会する本学会において、CRISPR を用いたエピゲノム編集技術にいち早く着目し、本分野において最先端を走ってきた当社の CRISPR-GNDM<sup>®</sup> 技術とリードプログラム MDL-101 の臨床開発に向けた開発進捗データを発表する機会を得たことは大変光栄です。」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: Epigenome editing with CRISPR-GNDM<sup>®</sup> as a treatment platform for unmet medical conditions**

**日時:** 2024年12月5日 11AM EST

**セッション名:** Progressing Epigenome Editors into the Clinic

<sup>※</sup> 第5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