



2025年1月6日

各 位

JCRファーマ株式会社  
株式会社モダリス

## JCRファーマ株式会社と株式会社モダリス 新規遺伝子治療の開発に向けた次フェーズの共同研究契約を締結

JCRファーマ株式会社（代表取締役会長兼社長：芦田 信、以下「JCR」）と株式会社モダリス（代表取締役 CEO：森田 晴彦、以下「モダリス」）は、中枢神経系（以下「CNS」）疾患を対象とする新規遺伝子治療の開発に向けた共同研究として初期の技術コンセプトの検証を達成したため、次のフェーズに進めることを合意し、新たな共同研究契約（以下「本契約」）を締結しましたのでお知らせします。

両社は特定の CNS 疾患を対象に、JCR 独自の血液脳関門（以下「BBB」）通過技術 J-Brain Cargo®と、モダリス独自のエピゲノム編集技術、CRISPR-GNDM®（ガイド核酸誘導型遺伝子制御）に基づくペイロード（薬効本体）を融合した新規遺伝子治療の適用について、2023年12月から共同研究を開始しました。今回、その共同研究の結果、初期の技術コンセプトの検証を完了したため、両社間の取り組みを強化し、次のステージに進むことを決定しました。

本契約に基づき、両社は前臨床試験を共同で実施します。両社共同で開発する新規遺伝子治療は、静脈内注射により低侵襲かつ脳の広範な部位に効率良く革新的な遺伝子治療薬を届けることを可能にし、患者さんへの負担が少ない新たな治療を提供することを目指します。

JCRファーマ株式会社の取締役専務執行役員 研究本部長の菌田啓之は、次のように述べています。

「モダリスとの共同研究に関する進展を報告することができ、大変嬉しく思っています。当社が開発した J-Brain Cargo®による BBB 通過の技術と、モダリスの CRISPR-GNDM®によるエピゲノム編集の技術が組み合わさることで、これまでになかった革新的な治療薬の開発につながることを強く期待しています。」

株式会社モダリスの CEO の森田晴彦は、次のように述べています。

「今回、JCR との共同研究が次のステージに進むことを発表できることは、これまでの両社の努力の成果であり、当社の研究開発にとって、戦略的に非常に重要な進展です。私たちは CRISPR によるエピゲノム編集技術のパイオニアとして、筋肉疾患において、病態モデル動物試験で長期薬効と機能改善、霊長類でターゲットエンゲージメントおよび安全性を

実証しており、これは CNS 疾患領域においても大きな可能性を秘めています。今回、JCR が独自開発した BBB 通過技術 J-Brain Cargo®との融合は中枢神経疾患における当社独自のエピゲノム編集技術 (CRISPR-GNDM®) の可能性と価値を最大化する非常に大きなブレークスルーとなる可能性があります。」

なお、本件に関する今期 (JCR : 2025年3月期、モダリス : 2025年12月期) の連結業績への影響は、両社ともに軽微です。

以 上

#### JCRファーマ株式会社について

JCRファーマ株式会社 (TSE : 4552) は、希少疾病や遺伝性疾患の治療薬の開発に特化したグローバルスペシャリティファーマです。約50年にわたる日本での経験をふまえ、米国、欧州および中南米においても事業活動を拡大しています。詳細については、当社のホームページをご覧ください。 (<https://www.jcrpharm.co.jp/>)

#### 株式会社モダリスについて

株式会社モダリス (TSE : 4883) は2016年設立、米国マサチューセッツ州に研究開発拠点を持ち、CRISPR を用いたエピゲノム編集技術による治療薬開発のリーディングカンパニーです。当社の拡張性の高いプラットフォーム技術をもとに、筋肉疾患、CNS 疾患および心筋症等、深刻な遺伝子疾患に苦しむ患者さんのための治療薬を開発しています。詳細については、当社のホームページをご覧ください。 (<https://www.modalistx.com/jp/>)

#### 【本件に関するお問い合わせ先】

JCRファーマ株式会社 経営戦略本部 広報・IR 室

TEL : 0797-32-1995

株式会社モダリス 経営管理部

TEL : 03-6231-0456