



2026年5月28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)

**FSHDを対象とするMDL-103の研究成果をFSHD Society 2026 International Research Congressにて発表
— CRISPR-GNDM®技術を用いたDUX4のエピジェネティック抑制に関する前臨床データをSpotlight Poster
Presentationとして発表 —**

当社は、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー (FSHD) を対象とする開発プログラム MDL-103 に関する研究成果について、FSHD Society 主催の 2026 International Research Congress (IRC、2026年6月25日から26日、米国イリノイ州ローズモントにて開催予定) における Spotlight Poster Presentation で発表いたします。

本演題は、2026年6月25日午後6:10から8:10までのポスターセッションで掲示される予定です。また、2026年6月26日午後2:40から、5分間の口頭発表および10分間の質疑応答が予定されています。本発表では、当社の CRISPR-GNDM®技術を用いた DUX4 のエピジェネティック抑制に関する前臨床研究データを報告いたします。

発表の概要

1. 発表内容

MDL-103 は、当社の CRISPR-GNDM®技術を用いて、FSHD の原因遺伝子である DUX4 の発現抑制を目指すプログラムです。本発表では、DUX4 が存在する D4Z4 リpeat配列を標的としたエピジェネティック制御のアプローチについて、FSHD 患者由来の筋原性細胞を用いた *in vitro* 評価、3D 筋組織モデルでの評価、ならびに患者由来の筋肉細胞を移植したマウス xenograft モデルにおける *in vivo* 評価の概要を報告します。

2. 発表のポイント

- FSHD 患者由来の筋原性細胞を用いた *in vitro* 評価において、DUX4 およびその標的遺伝子群の発現抑制を確認
- 3D 筋組織モデルにおいて、DUX4 および関連標的遺伝子の発現抑制を評価
- 患者由来の筋肉細胞を移植したマウス xenograft モデルにおける *in vivo* 評価として、全身投与した筋指向性 AAV-CRISPR-GNDM®による DUX4 標的遺伝子の発現低下を報告
- KHDC1L、TRIM43、ZSCAN4 などの DUX4 標的遺伝子に関するデータを提示
- 筋形成マーカーである MYOG、MYF6、MYH8、DMD に関する評価結果、およびオフターゲット解析結果を提示

なお、本演題は FSHD Society 2026 International Research Congress における Spotlight Poster Presentation として発表予定です。

発表詳細は以下の通りです。 [2026-IRC-Program-Outline-1.pdf](#)

発表形式: IRC Spotlight Poster Presentation

演題名: Epigenetic suppression of DUX4 using CRISPR-GNDM technology as a therapeutic for FSHD

発表者: Dr. Alec DeSimone

口頭発表日時: 2026年6月26日 (Day 2) 2:40 PM より 5分間

ポスター掲示日時: 2026年6月25日 (Day 1) 6:10-8:10 PM

学会名: FSHD Society 2026 International Research Congress

プログラム上の位置づけ: Day 2 の 5-Minute Presentations 枠

注) FSHD Society 2026 International Research Congress について

FSHD Society が主催する International Research Congress は、顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー (FSHD) に関する研究発表が行われる国際会議です。基礎研究、臨床研究、バイオマーカー、治療開発など、FSHD に関連する幅広いテーマが取り上げられ、研究者、臨床医、患者団体、企業関係者などが最新の知見を共有する場となっています。2026 年は 6 月 25 日から 26 日にかけて、米国イリノイ州ローズモント (シカゴ都市圏) にて開催予定であり、現地参加とオンライン参加を組み合わせたハイブリッド形式で実施される予定です。

(<https://www.fshdsociety.org/research-and-clinical-care/for-researchers/international-research-congress/>)

以上