



2025年4月23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)

2025 MDF Conference における
MDL-202 の前臨床データとエピゲノム編集技術 (CRISPR-GNDM®)
などの発表に関するお知らせ

2025年5月1日から4日にかけて米国インディアナポリスで開催される 2025 MDF Conference ^{注)}において、当社が開発する MDL-202 (対象疾患: 筋強直性ジストロフィー1型) につき招待講演の依頼を受け、当社の Director, Molecular Biology and Genomics である Keith Connolly 博士が MDL-202 の研究成果を発表します。筋強直性ジストロフィー1型 (DM1) は成人で最も頻度の高い筋ジストロフィー症で、筋硬直および筋委縮を特徴とする疾患です。その発症メカニズムは、DMPK 遺伝子の3'側非翻訳領域にある CTG 繰り返し配列 (リピート) の異常伸長が原因で、その転写産物である mRNA が、リピート領域にスプライシングに関与する MBNL1 などのタンパク質をトラップすることにより、筋肉細胞において正常なスプライシングを阻害するとされています。本学会では、当社エピゲノム編集技術 (CRISPR-GNDM®) の競合優位性とそれを用いてつくられた MDL-202 の前臨床データなど以下の内容の発表を予定しています。

- ・ 標的である DMPK 遺伝子の持続的な抑制化を実現する最適な gRNA の探索と MDL-202 分子の最適化
- ・ DM1 患者由来筋肉細胞を用いた MDL-202 の *In vitro* 薬効評価
- ・ DM1 疾患モデルマウスにおける筋肉指向性 AAV ベクターに搭載した MDL-202 の *In vivo* 薬効評価
- ・

^{注)} 2025 Myotonic Dystrophy Foundation (MDF) Conference (URL: [2025 MDF Conference | Myotonic Dystrophy Foundation](https://www.myotonic.org/sites/default/files/2025-04/MDF-2025-Conference-Program.pdf))

当社の発表一覧は以下の通りです。

口頭報告:

演題名: Myotonic dystrophy type 1 (DM1) treatment by CRISPR-GNDM® mediated suppression of DMPK mRNA

日時とセッション名: 2025年5月1日 (木) 3:20-3:40 PM EST at Pharma Day

2025年5月3日 (土) 2:35-3:45 PM EST at Industry Updates Part 2

<https://www.myotonic.org/sites/default/files/2025-04/MDF-2025-Conference-Program.pdf>

^{注)} 2025 MDF Conference について

The Myotonic Dystrophy Foundation (MDF) は筋強直性ジストロフィー (DM) の患者、その家族と医療関係者等をつなげ、DM 治療薬に関する様々なリソースを提供し、患者とその家族を支援する世界最先端の団体です。 MDF Conference は DM 患者とその家族、研究者、医療、製薬、バイオテック関係者が総勢 500 名以上集う DM コミュニティ最大のイベントです。 MDF conference の中で開催される Pharma Day では最先端の DM 治療薬開発についての発表が予定されています。

以上