



2025 年 4 月 30 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 28 回 米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT) における MDL-202 の前臨床データなどの発表に関するお知らせ

2025 年 5 月 13 日から 17 日にかけて米国ニューオリンズで開催される米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT: The American Society of Gene & Cell Therapy^注) の第 28 回年次学会において、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) の前臨床データならびにナノポアシークエンサーを用いた遺伝子改変型 AAV ベクターの機能性評価と最適化法の開発がそれぞれ口頭発表ならびにポスター発表に採択されました。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、筋硬直および筋萎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、MDL-202 の前臨床データならびに当社が独自に研究開発した最新のナノポアシークエンサーを用いた遺伝子改変型 AAV ベクターの解析評価方法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
- ・ ナノポアシークエンサーを用いて AAV ベクターに搭載された遺伝子長の分布をバイアスのない形で正確に評価・解析し、最適なベクター配列を見出す方法論

当社の発表一覧は以下の通りです。

[AM25 abstracts FINAL.pdf](#)

口頭発表 436: Treatment of Myotonic Dystrophy Type 1 (DM 1) by GNDM-mediated Suppression of the DMPK Gene

日時: 2025 年 5 月 17 日 10:45-11:00AM CST

セッション名: Gene Therapy for Muscle Diseases

ポスター発表 831: Nanopore Sequencing and Screening of AAV Genomes for Optimal Production and Function

日時: 2025 年 5 月 13 日 6:00-7:00PM CST

セッション名: Poster Reception

^注 第 28 回 米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT) について

米国遺伝子細胞治療学会は、世界最大級の遺伝子細胞治療の国際学会です。年次会は毎年 5 月に米国で開催され、世界中から研究者、医師、企業、規制当局が集まり、基礎研究から臨床応用、規制動向まで幅広い内容の発表が予定されています。近年では遺伝性疾患やがん治療における改良型 CRISPR 技術を用いた最先端の遺伝子治療に大きな注目が集まっており、多くのセッションで発表が予定されています。CRISPR 研究の最前線が集まる場として、世界的に重要なプラットフォームとなっています。

以上