



2025年5月29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)

個人投資家向け会社説明会の開催のご報告及び使用資料の公開について

株式会社モダリス（所在地：東京都中央区、代表取締役CEO：森田 晴彦）は、2025年5月26日（月）に、個人投資家を対象としたオンライン会社説明会を開催いたしました。

説明会では、代表取締役CEOの森田晴彦より、当社の事業概要、開発状況、今後の事業戦略、財務戦略についてについてご説明いたしました。

説明会における資料は、次ページ以降に添付しております。

また、説明会の模様は野村インベスター・リレーションズ株式会社様のホームページからオンデマンド配信されておりますので、併せてご覧ください。

- 日時：2024年5月26日（月）19:00～20:00
- 講演者：株式会社モダリス 代表取締役 CEO 森田 晴彦
- 説明会運営会社：野村インベスター・リレーションズ株式会社（野村IR）
- 説明会動画：<https://webcast.net-ir.ne.jp/48832505/index.html>
(野村IRホームページ上の動画に移動いたします。)

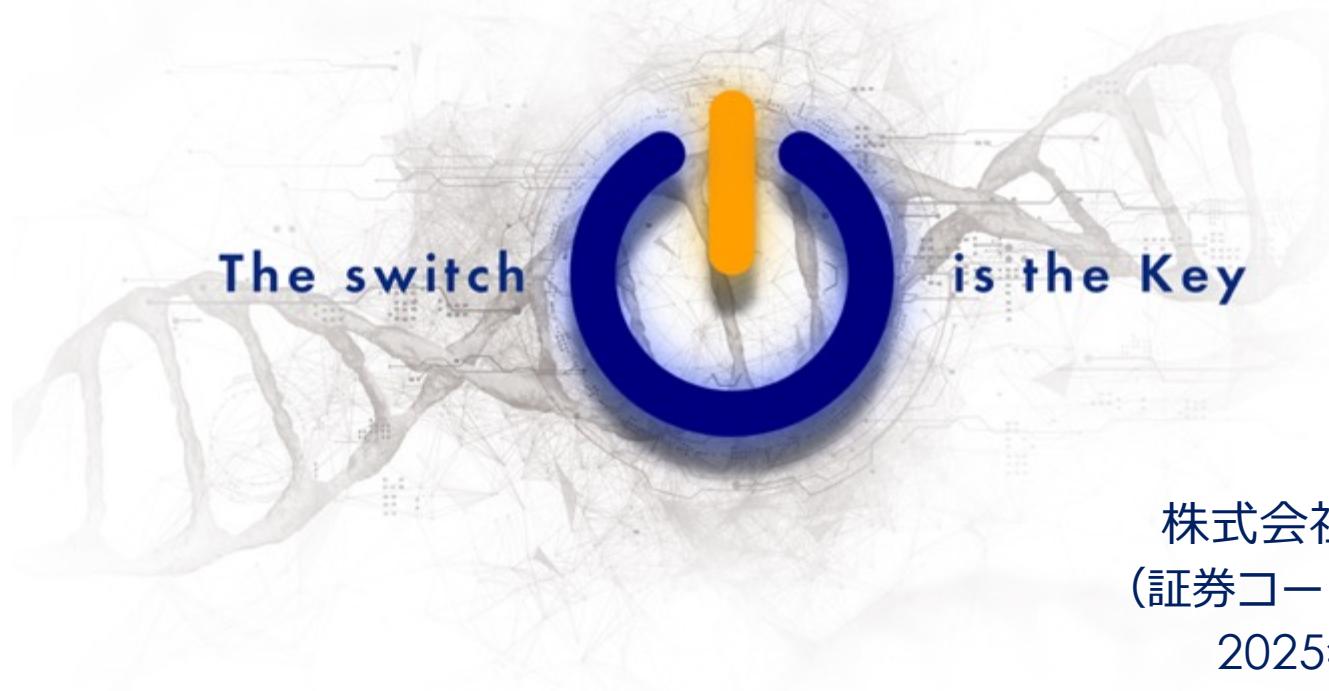
なお、説明会の際には時間の都合でお答えしきれなかった質問について、弊社ホームページのFAQページにて回答しております。

(FAQ | 株式会社モダリス：<https://modalistx.com/jp/ir/faq/>)

引き続きご支援をよろしくお願い申し上げます。

以上

個人投資家向けWEBセミナー



株式会社モダリス
(証券コード : 4883)
2025年5月26日



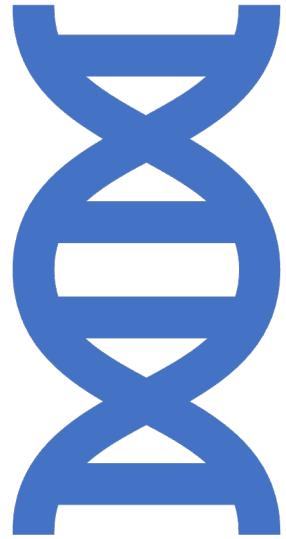
本資料の取扱について

- ・ 本資料は、関連情報のご案内のみを目的として当社が作成したものであり、日本国、米国またはそれ以外の一切の法域における有価証券の取得勧誘または売付け勧誘等を構成するものではありません。米国、日本国またはそれ以外の一切の法域において、適用法令に基づく登録もしくは届出またはこれらの免除を受けずに、当社の有価証券の募集または販売を行うことはできません。
- ・ 本資料に記載されている情報は、現時点の経済、規制、市場等の状況を前提としていますが、その真実性、正確性または完全性について、当社は何ら表明または保証するものではありません。本資料に記載された情報は、事前に通知することなく変更されることがあります。本資料及びその記載内容について、当社の書面による事前の同意なしに、何人も、他の目的で公開または利用することはできません。本資料に記載された将来の業績に関する記述は、「将来情報です。将来情報には、「信じる」、「予期する」、「計画する」、「戦略をもつ」、「期待する」、「予想する」、「予測する」または「可能性がある」というような表現及び将来の事業活動、業績、出来事や状況を説明するその他類似した表現を含みます（これらに限定されるものではありません）。将来情報は、現在入手可能な情報をもとにした当社の経営陣の判断に基づいています。そのため、これらの将来情報は、様々なリスクや不確定要素に左右され、実際の業績は将来情報に明示または默示されたものとは大幅に異なる場合があります。したがって、将来情報に全面的に依拠することのないようご注意ください。
- ・ 本資料の作成にあたり、当社は当社が入手可能なあらゆる情報の真実性、正確性や完全性に依拠し、前提としています。当社はかかる情報の真実性、正確性あるいは完全性について独自の検証を行っておらず、その真実性、正確性あるいは完全性について、当社は何ら表明及び保証するものではありません。

MODALIS Therapeutics

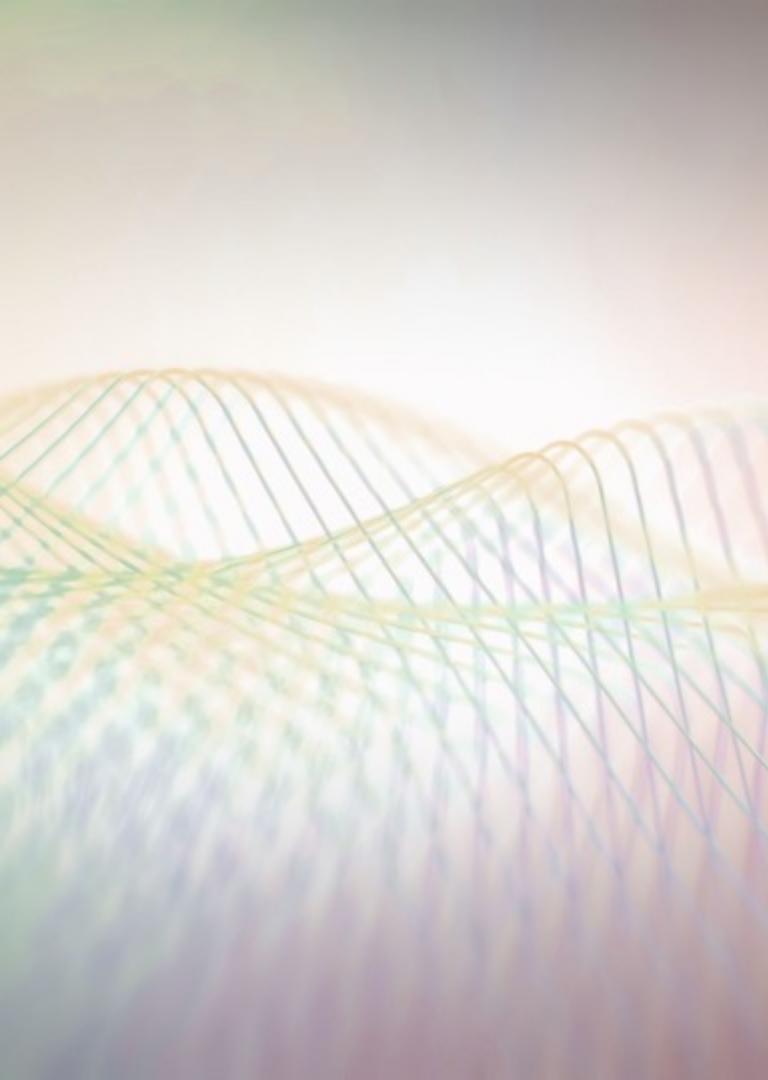
- 世界で最初のCRISPRベースのエピゲノム編集企業
- 創立 2016年
- 本社：東京
- 研究拠点：Waltham MA, USA





目次

1. 遺伝子治療について(なるべく簡単に)
2. モダリスの技術と開発品目について
3. 直近の財務状況および戦略について
4. 成長戦略
5. まとめ
6. Q&A (事前質問とリアルタイムでいただく質問)



1. エピゲノム、遺伝子治療 について (なるべく簡単に)

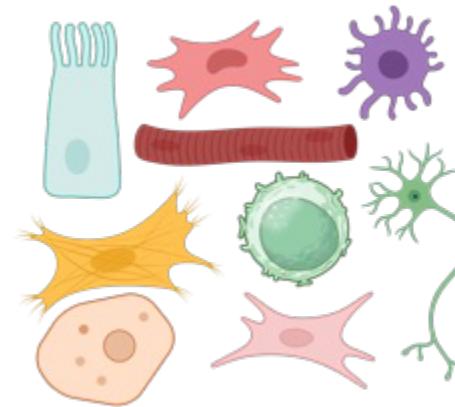
我々の体は非常に複雑なマシン

37兆個の細胞、2万の遺伝子、200種類の細胞、100を超える臓器。でもたった1セットの設計図

37兆個の細胞、100を超える臓器



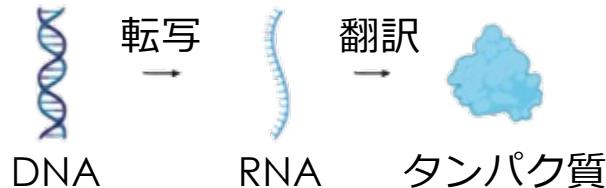
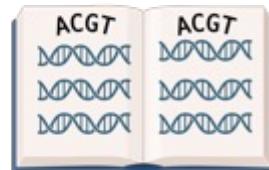
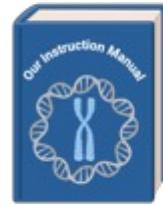
それを構成する200種類の細胞



セントラルドグマ

セントラルドグマと呼ばれる中心定理によれば、すべてはDNAで決まっているはずなのだが…

セントラルドグマ



それだけでは説明が付かない。

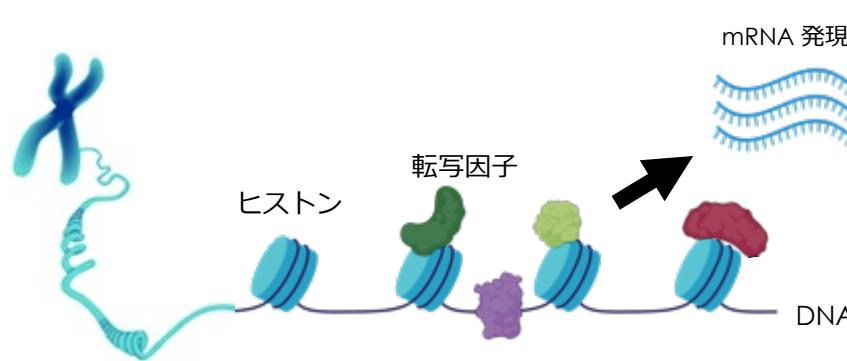


それを埋めるのがエピゲノム

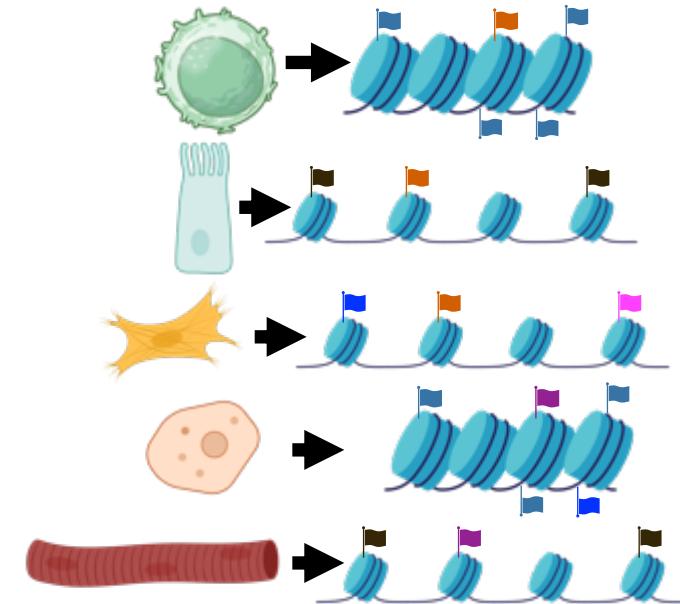
エピゲノム

ゲノムを超えて(エピ)、遺伝子が、いつ、どこで、どれだけ読み出されるかを決定づけ、細胞やその機能などの多様性をつくり出す仕組み

DNAからRNAが読み出される仕組み



細胞の多様性もエピゲノムで支配されている



2.モダリスの技術と開発品目について



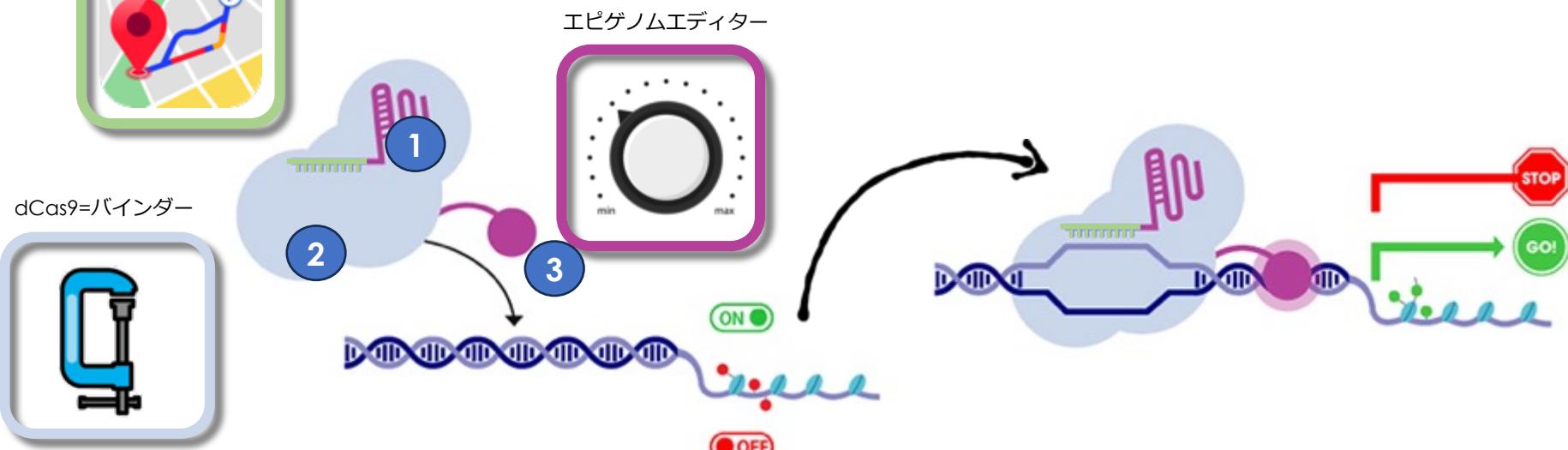
CRISPR-GNDM®

エピゲノムを自由に制御できる新しいエピゲノム編集プラットフォーム

ガイドRNA=ポインター



CRISPR-GNDM® (Guide Nucleotide-Directed Modulation)



CRISPR-GNDM® は①位置決めをする「ガイドRNA(gRNA)」、②DNAへの結合デバイスである「dCas9」、③エピゲノムの編集を行う「エディター」で構成され、遺伝子の発現のオン・オフを自由に制御する

様々な遺伝子治療技術

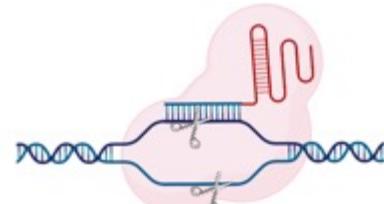
CRISPR-GNDM®はDNA改変を伴わない差別化された遺伝子治療技術

遺伝子治療技術

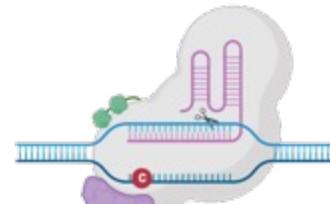
ゲノム編集

塩基/プライム編集

siRNA / アンチセンス核酸



不可逆的な切断



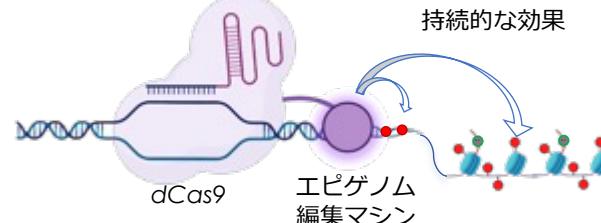
不可逆的な置換



一時的な抑制

エピゲノム編集(CRISPR-GNDM®)

DNAの切斷や改変を伴わない
=安全



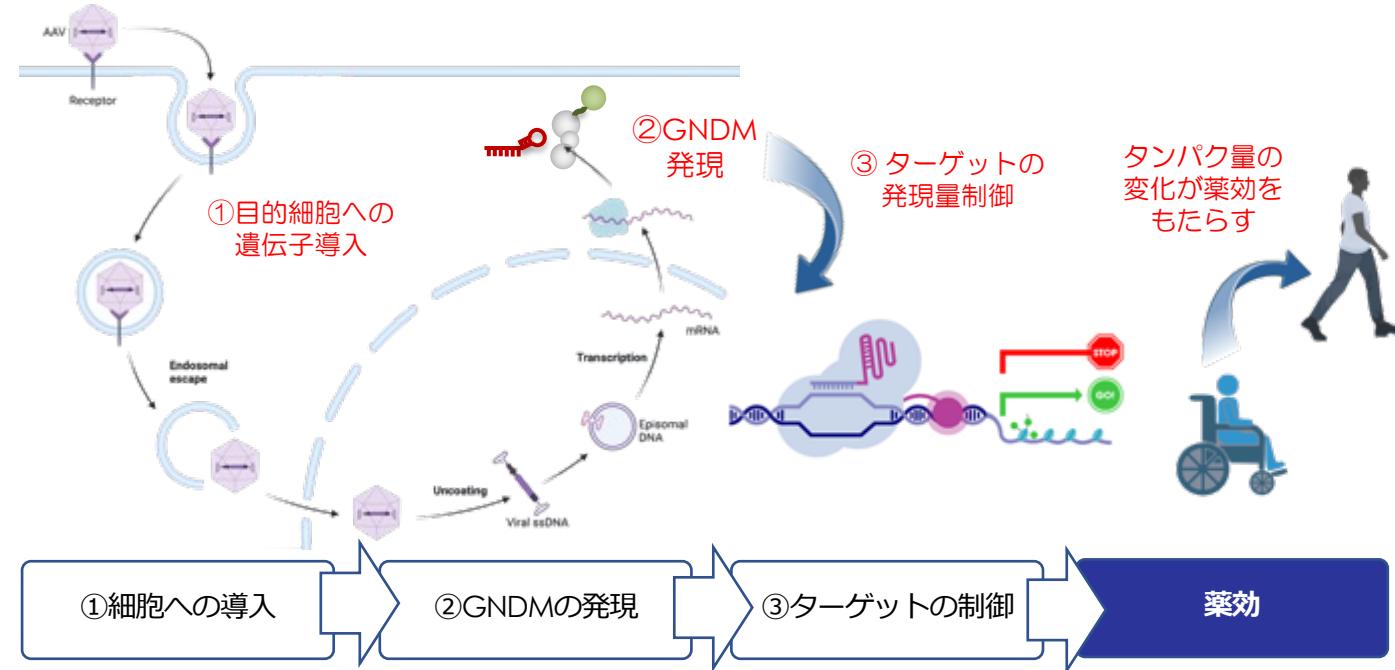
持続的な効果

GNDM=Guide Nucleotide Directed Modulation
ガイド核酸誘導型遺伝子制御

薬剤投与から薬効までの3段階

AAVが細胞にGNDMを運び、タンパクとしてして読み出されたGNDMが目的遺伝子を制御する

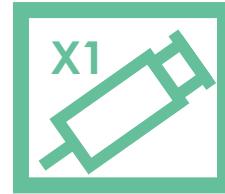
ウィルスベクター



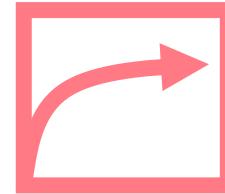
CRISPR-GNDM® の画期的なポイント

1回の投与で病態改善効果が持続

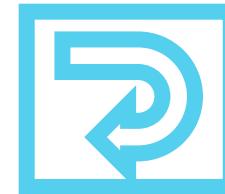
CRISPR-GNDM® 技術のもたらしうる効果



単回投与
反復投与を
必要としない



効果が持続
数年あるいは数十年
に渡って効果が持続



病態を改善
対症療法ではなく
治療を実現

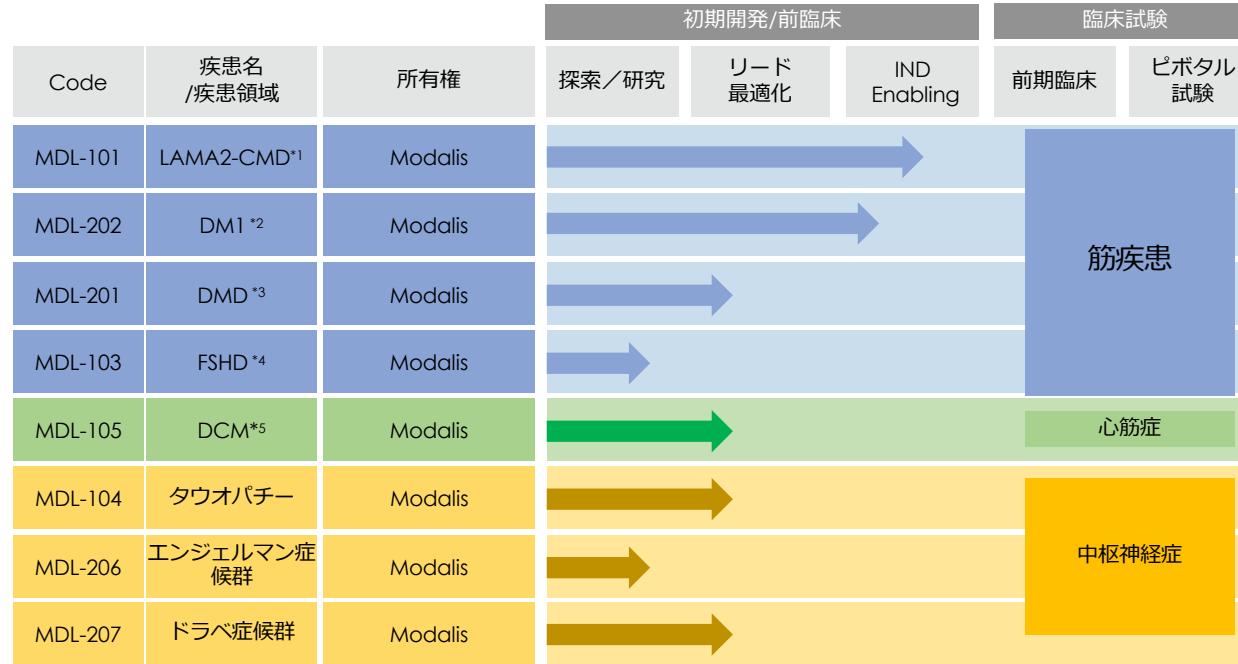
エピゲノム編集の競合環境

エピゲノム編集のモメンタムは維持されている

| 企業 | 設立年 | 投資ステージ | プラットフォーム | パイプライン/対象疾患 | 開発ステージ |
|--------------------------|------|--|-----------------------------|--|---|
| MODALIS | 2016 | 公開 | CRISPR-GNDM x AAV | <ul style="list-style-type: none"> • MDL-101/LAMA2-CMD • MDL-201/DMD 遺伝子活性化 | preIND完了 IND enabling試験中 |
| Tune Therapeutics | 2020 | シリーズB (\$175M, 2025) | DNMT-KRAB 融合 dCas9 x LNP | TUNE-401/B型肝炎 遺伝子抑制化 | NZからHBVにCTA承認 (HKにてPhase 1b trial承認) |
| Chroma Medicine | 2021 | nChroma bio に吸収合併 (Dec 2024) | DNMT-KRAB 融合 dCas9 x LNP | CRMA-1001 PCSK9高コレス テロール血症 遺伝子抑制化 | 不明 |
| EpicrisprBio | 2022 | シリーズB (\$68M, 2025年 3月) | DNMT融合Cas12f x AAVrh74 | EPI-321/FSHD 遺伝子抑制化 | FDAよりINDクリアランス |

パイプラインの状況

MDL-101を中心とした神経筋疾患にフォーカスして開発



*1: LAMA2-related congenital muscular dystrophy = 先天性筋ジストロフィー1A型。

*2: Myotonic Dystrophy Type 1 = 筋強直性ジストロフィー1型

*3: Duchene Muscular Dystrophy (デュシェンヌ型筋ジストロフィー)

*4: facioscapulohumeral muscular dystrophy = 顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー

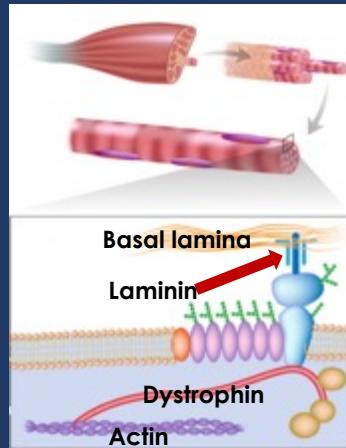
*5: Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

LAMA2-CMD (別名:CMD1A, 先天性筋ジストロフィー1A型)

LAMA2 遺伝子の変異によって生じる重篤な筋ジストロフィーの一型

MDL-101

LAMA2-CMDに対する
ファーストインクラスの治
療法



罹患率

100万人に8.3人*
USで2500人

発症

生後すぐ
あるいは数ヶ月内に著明

病態

思春期を超えて生きられない
場合が多い

- 重篤な筋力低下
- 筋緊張低下症
- 弱い自発的運動
- 関節変形
- 心不全、硬直

原因

LAMA2遺伝子の変異

市場規模

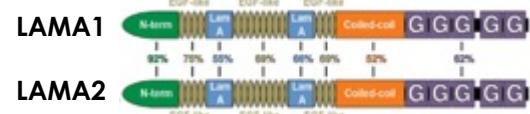
\$500M以上



CRISPR-GNDM®の作用メカニズム

LAMA2 の変異に対して姉妹遺伝子の LAMA1 をオンにすることで筋肉の機能回復を行う

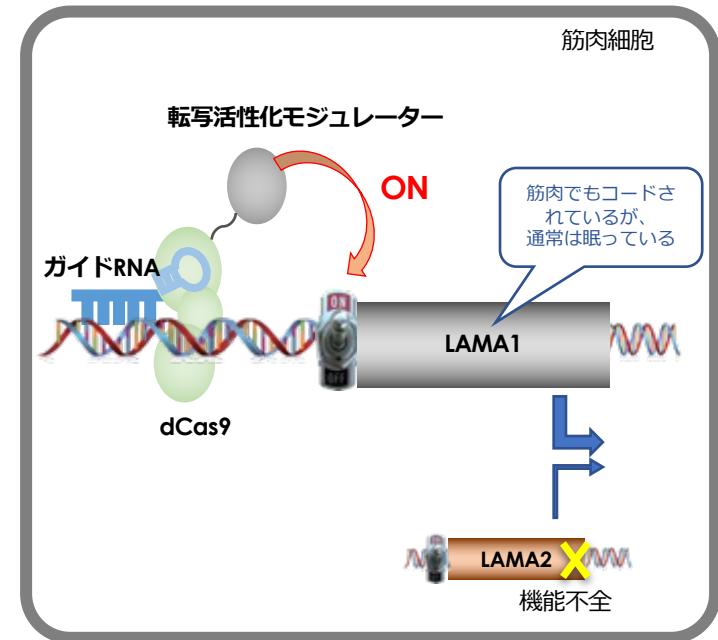
LAMA1とLAMA2タンパクの構造



LAMA1とLAMA2の組織別発現分布



CRISPR-GNDM®での治療コンセプト



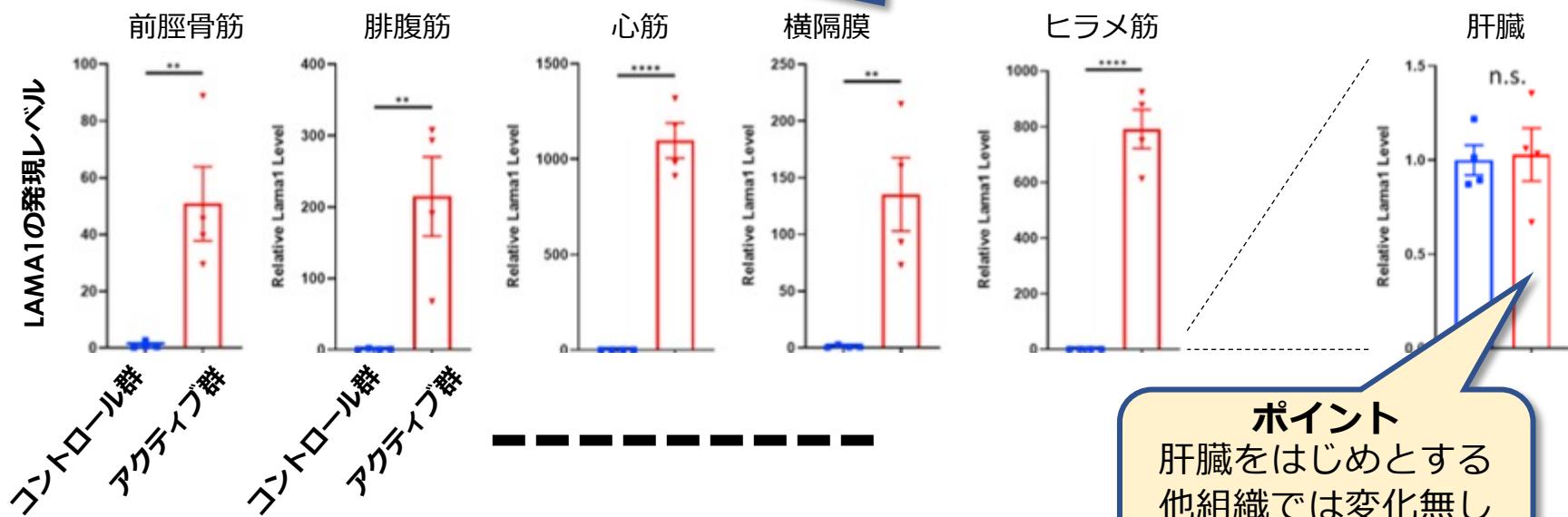


筋肉組織におけるLAMA1の発現

GNDM投与によってLAMA1は広範な筋肉組織で上昇し、非筋肉組織では変化なし

ポイント

広範な筋肉組織で圧倒的な上昇



ポイント

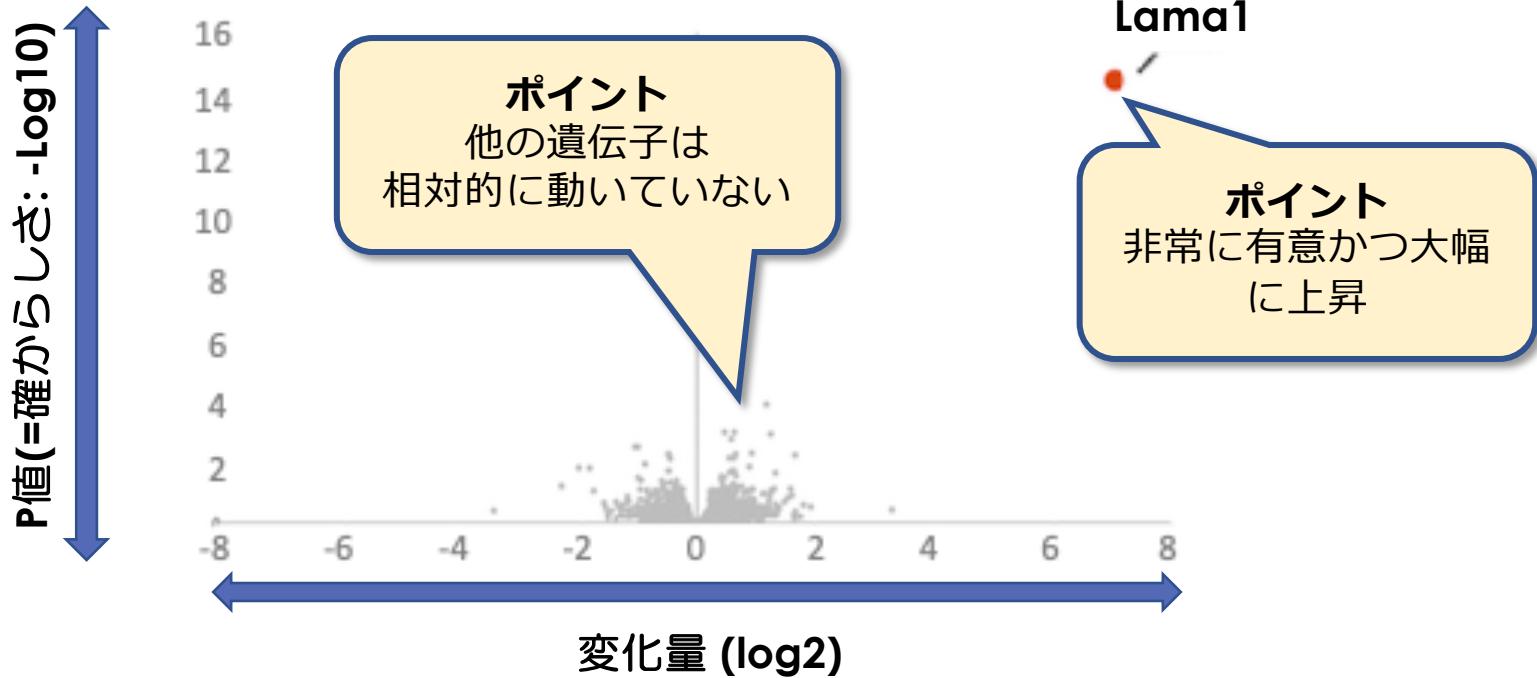
肝臓をはじめとする
他組織では変化無し
かつ低位



GNDMの選択性

LAMA1だけを選択的に上昇させ、他の遺伝子に影響を与えない

RNAseqによる遺伝子の増減比率解析





LAMA1の発現分布

広範な筋肉細胞にまんべんなく発現



LAMA1 LAMA2

正常マウス
遺伝子はあるが
起きていない

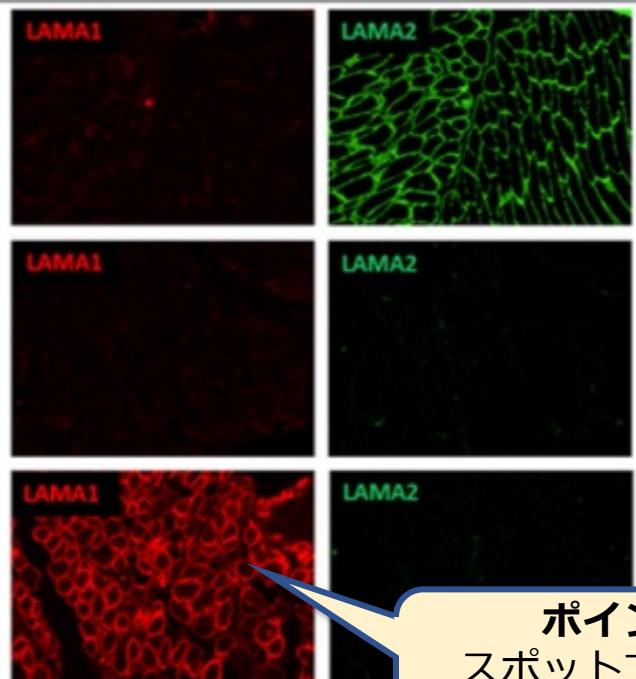


病態モデル
(dyW)

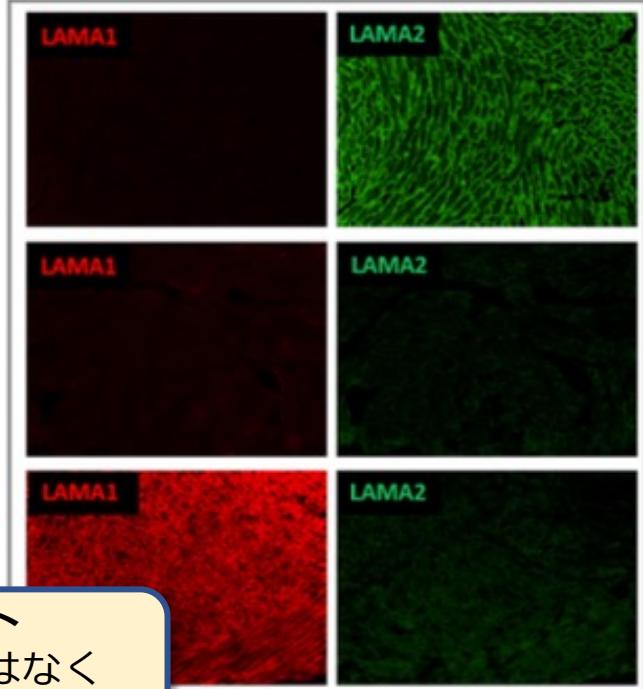
遺伝子が
壊れている



腓腹筋



心筋



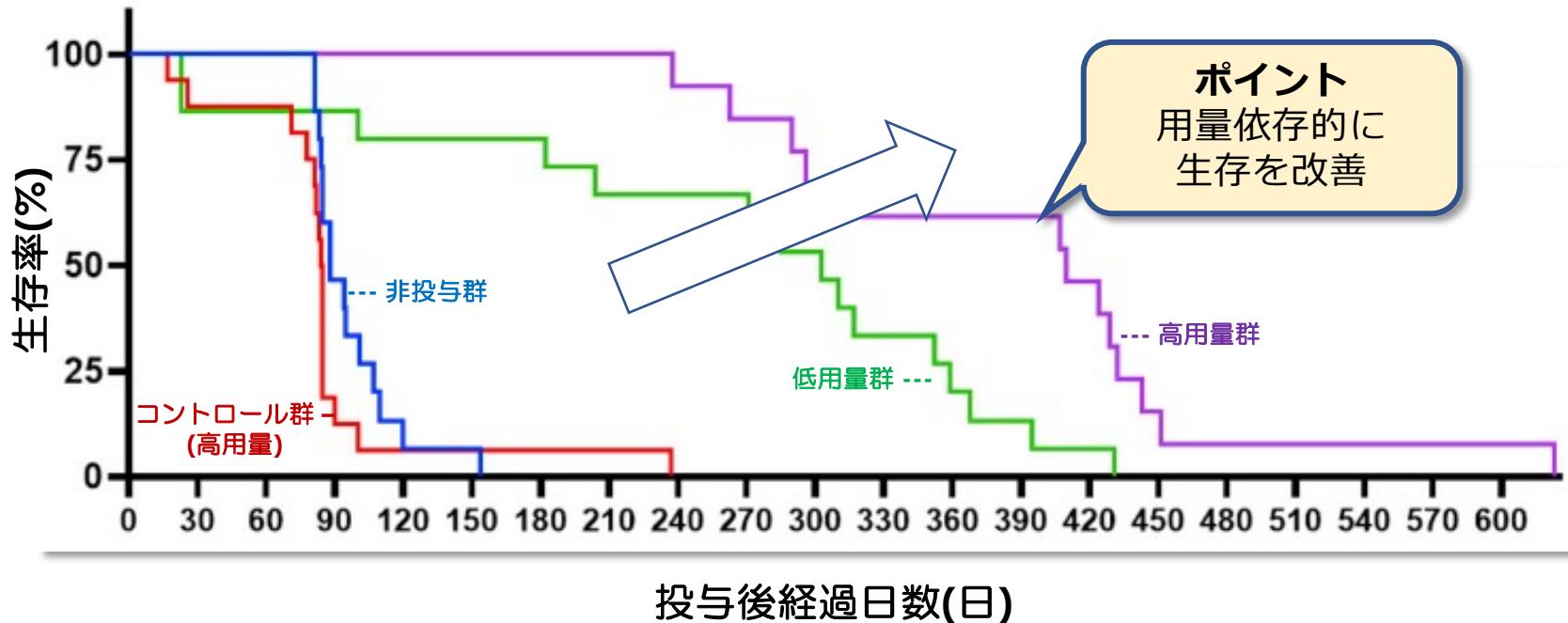
ポイント
スポットではなく
ムラ無く発現



生存延長に対する効果

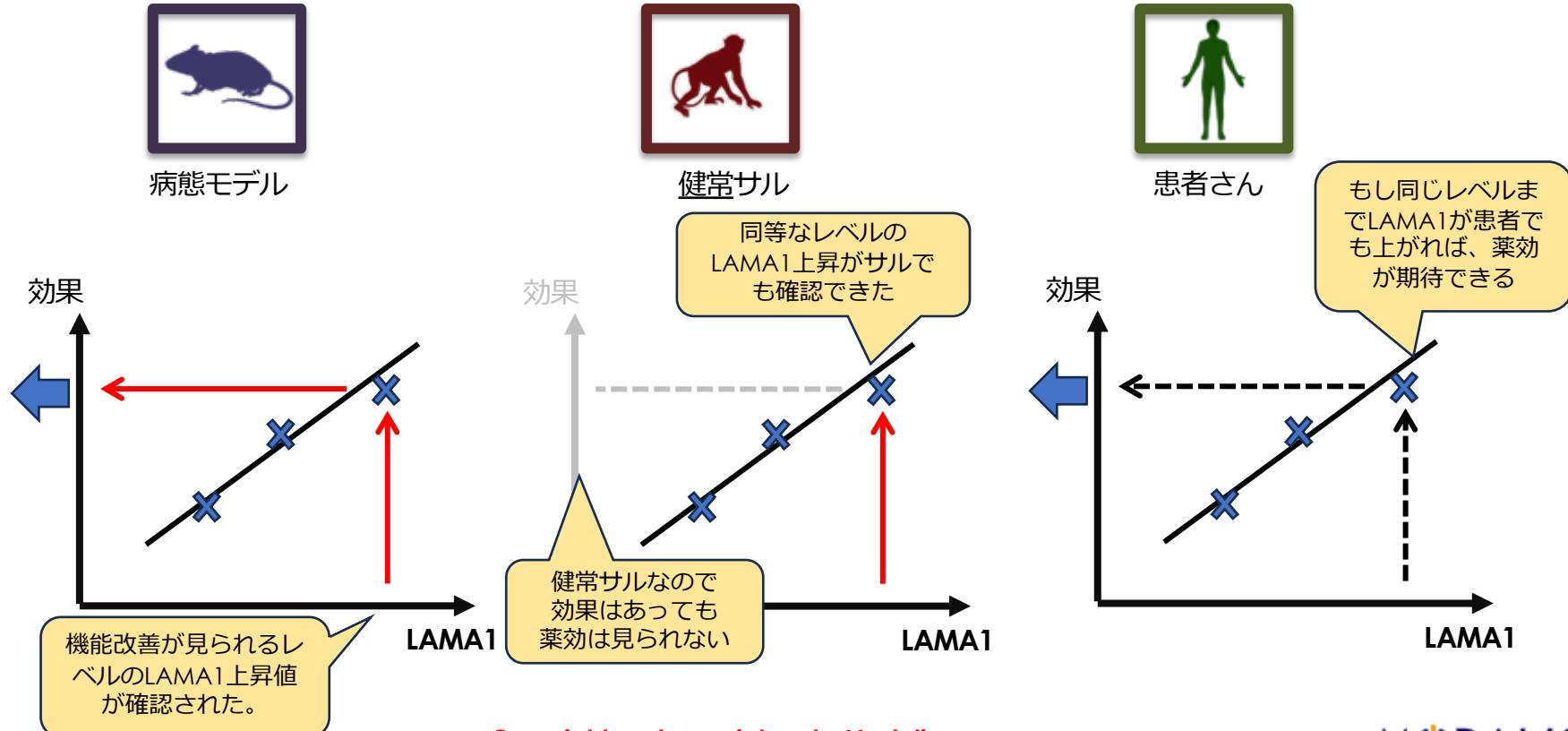
MDL-101の投与によって、生存率は大幅に改善

病態モデルマウスの生存曲線



サルにおける効果

マウス病態レベルで機能改善が見られたレベルまでのLAMA1上昇をサルで確認



製造方法の確立

難しい改変型キャプシドの製造方法を確立

- 改変型キャプシドに適応した製造プロセス
- 合理的な生産効率、収率、品質を実現
- 分析方法の確立も並行して実施
- 臨床に必要なサンプルの製造計画

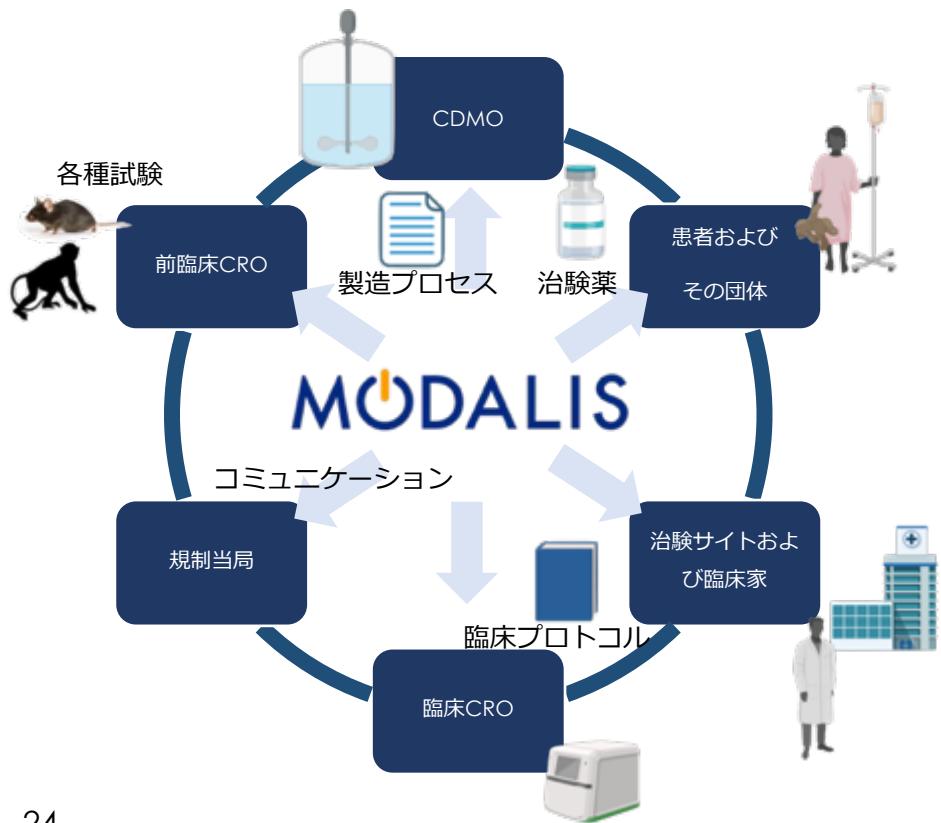


CDMOとの戦略的提携により製造



臨床に向けての準備

ネットワークを着実に構築し、アライメントを実施中

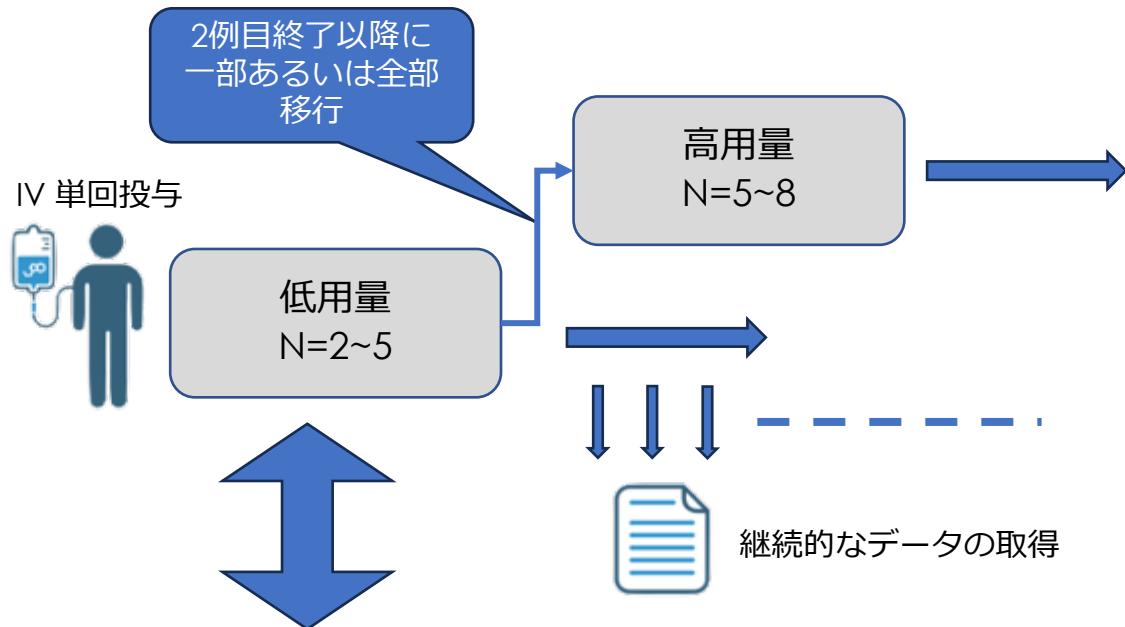


MDL-101-001 臨床試験のデザイン

2用量のオープンラベル試験。自然経過観察試験との比較で薬効を検討

フェーズ1/2 オープンラベル用量漸増試験の概要

- 36ヶ月齢あるいはそれ以下の患者(男女)
- 病態およびLama2遺伝子の変異 and/or 筋肉におけるLAMA2タンパク量の顕著な低下
- 治療上における定期
- 自律的歩行や座位が困難



Natural History Study(自然経過観察)との比較
(NCT06354790, NCT04299321, NCT06132750)

MDL-101 治験に向けて IND-enabling を遂行中

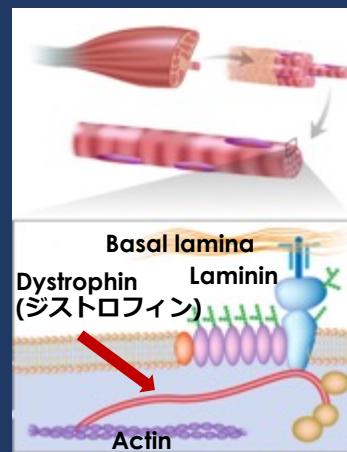
- PreINDにおいてFDAとの事前相談でポジティブな応答を受領
- オーファン認定、小児希少疾患認定をFDAから受領
- GMP製造に向けてCDMOへの技術移転を完了。スケールアップ製造を実施中
- GLP毒性試験
 - マウスIND enablingに着手
 - サルGLP毒性試験の準備中
- 治験に向けた患者団体とのコーディネーションを実施中

Duchenne型筋ジストロフィー(DMD)

Dystrophin遺伝子の変異を原因とする筋ジストロフィー

MDL-201

GNDMによりUTRN遺伝子を再起動させることによる治療法でベストインクラスとなり得る治療



罹患率

3,500~5,000人の
男子新生児に1人

比較的頻度の高い遺伝性疾患

発症

3歳から6歳の間に発症するこ
とが多い

病態

筋肉の減退及び萎縮を含む筋ジ
ストロフィーの中で最も重い臨
床症状

幼児期に運動発達の遅れが始まり、筋力
低下が進行して12歳までに車椅子になる。
その後、心筋症や側弯の進行、呼吸器系
の合併症など

原因

Dystrophin遺伝子の変異及び
欠失

遺伝子の変異により、ジストロフィンが
欠損し、筋肉の壊死・再生という組織学
的な異常発生

市場規模

\$1.1B*
2022年

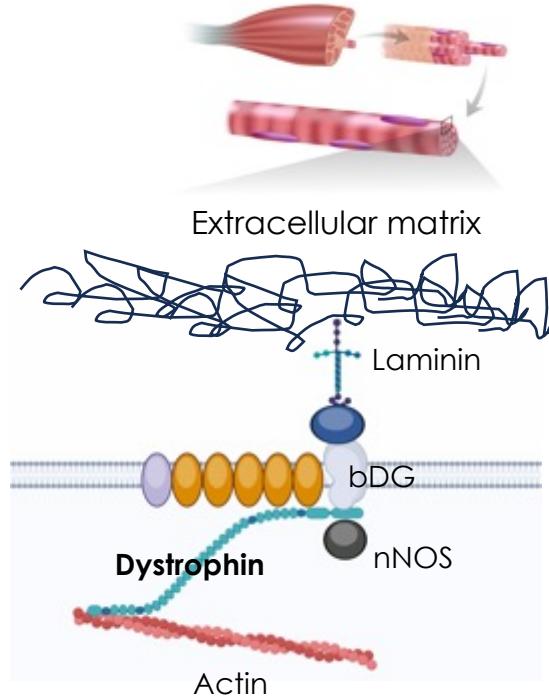
新しい治療薬の上市などの期待から
CAGR=42.5%で成長するとの予測

Source: *research and markets

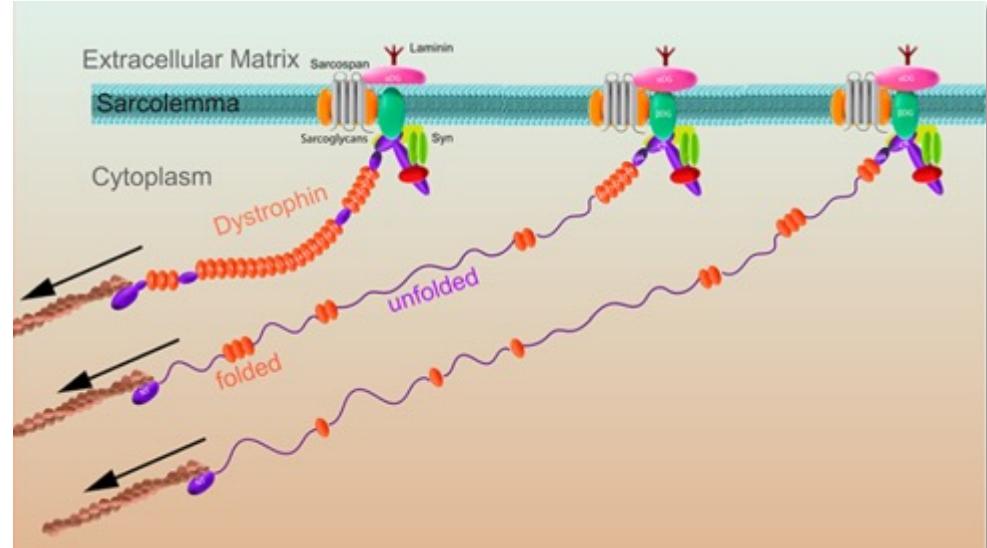
ジストロフィンの機能

筋肉の衝撃吸収材かつ信号伝達分子として機能

ジストロフィンはどこにあるか

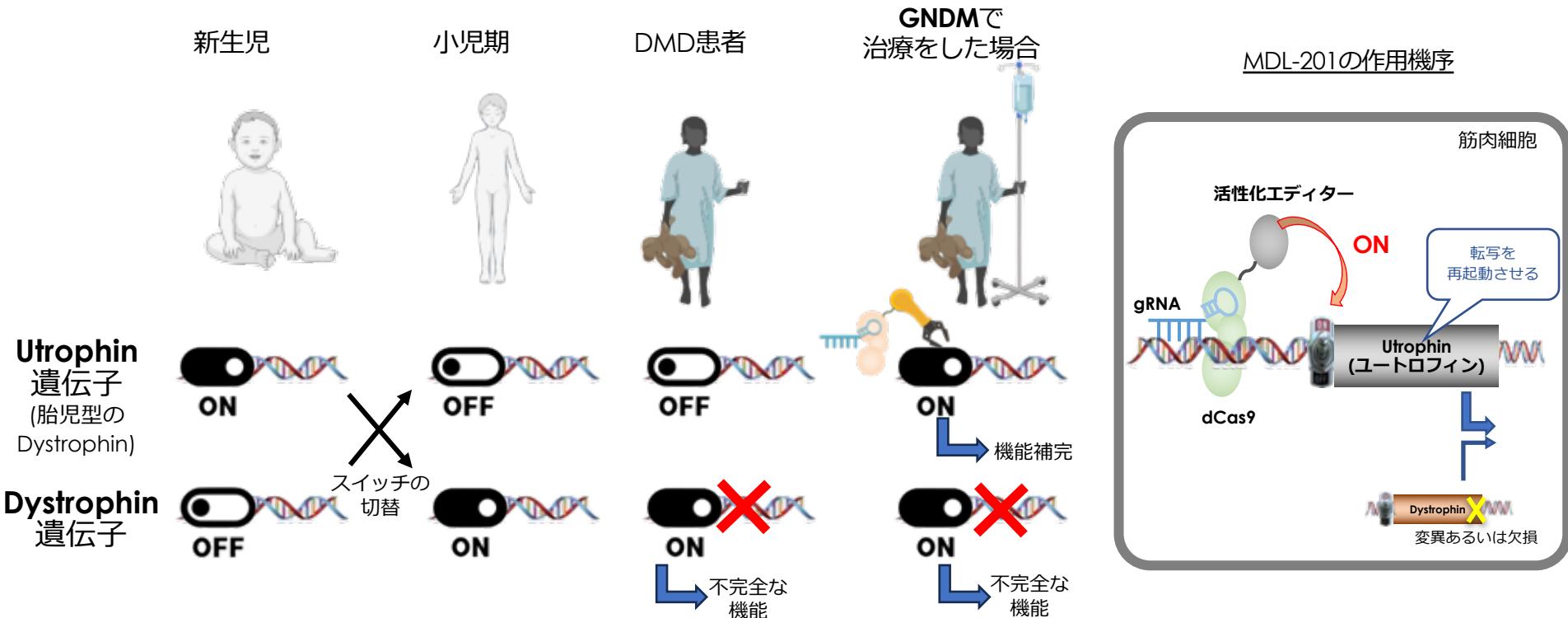


ジストロフィンは伸び縮みして細胞膜とアクチンを連結する



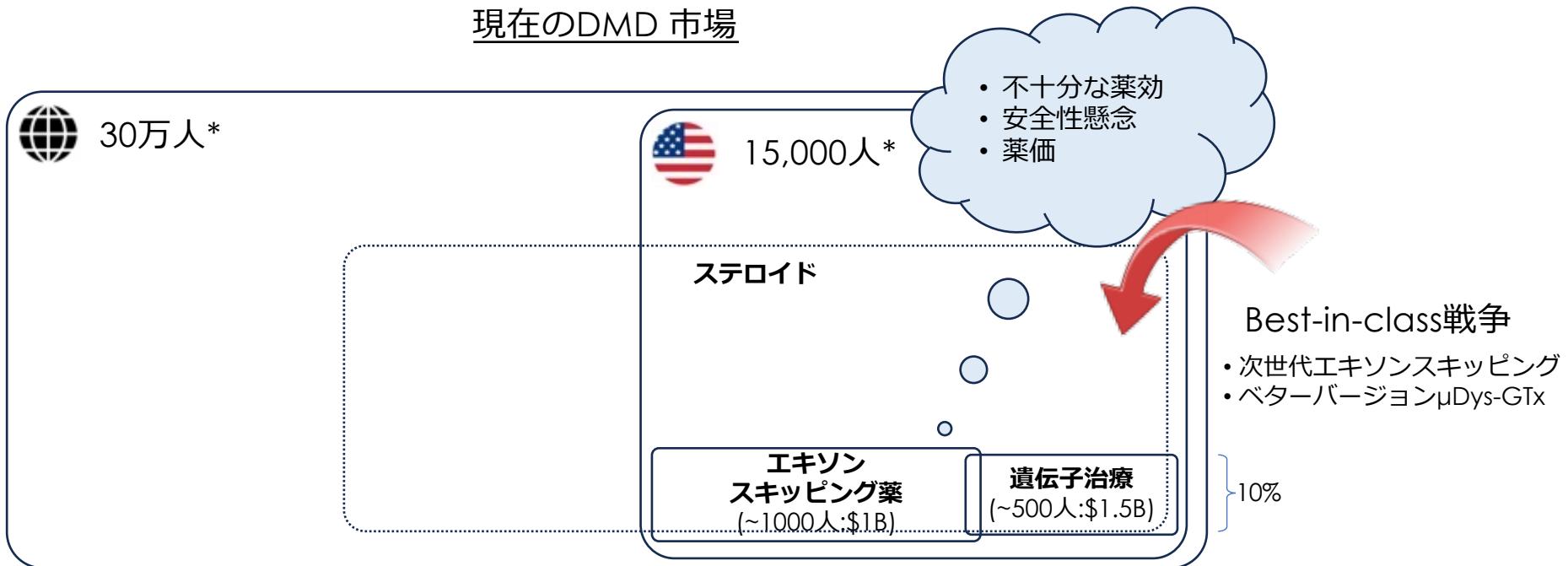
MDL-201 の治療コンセプト

成長の過程でスリープモードに入っているUtrophin遺伝子を再起動して、異常Dystrophinの機能を補完する



現在のDMD市場

DMD市場はまだ飽和からはほど遠く、高い有効性を示す薬剤への渴望は大きい

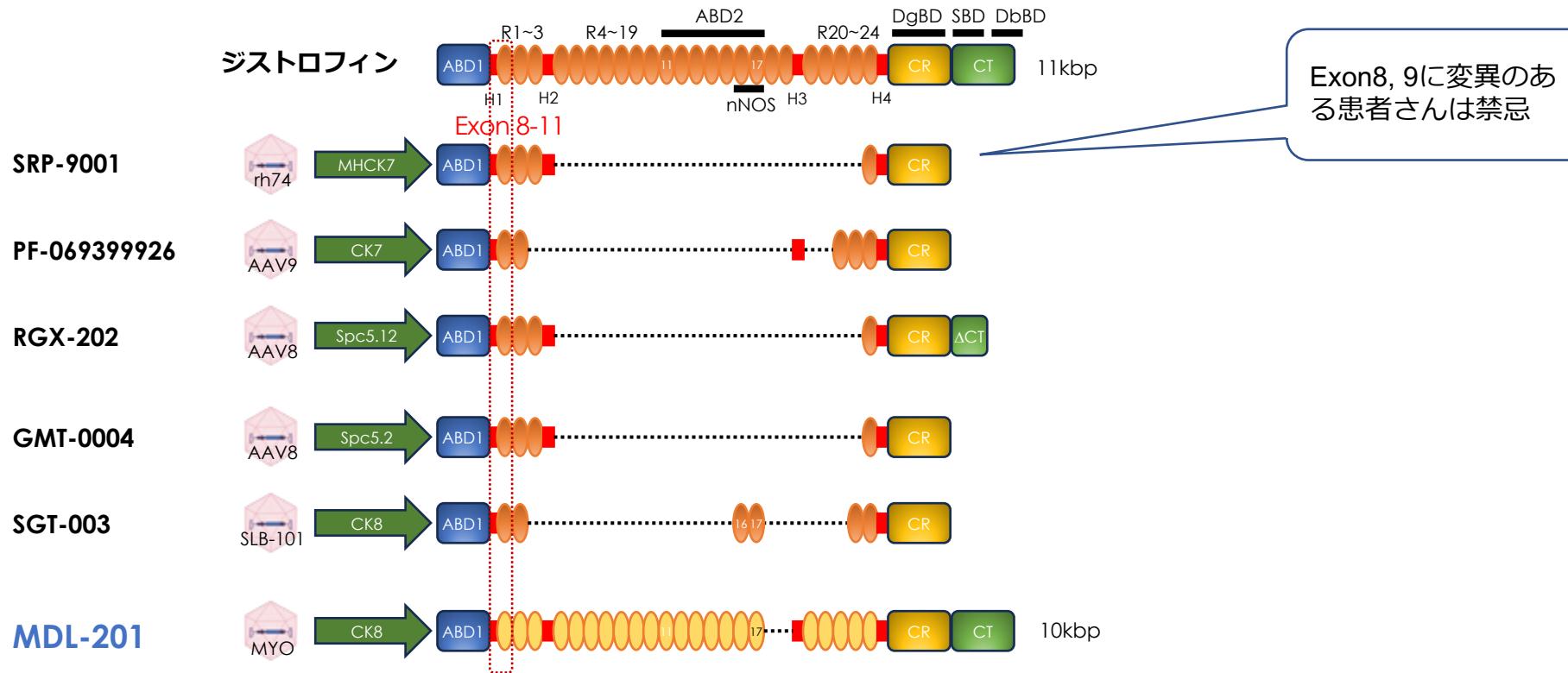


Source*:Cure Duchenne

競合他社のマイクロディストロフィンの構造

サイズ上の制約があるために、ベッカー型患者由来の小型ジストロフィンを使用

ジストロフィン、ユートロフィン、マイクロジストロフィンの構造



MDL-201の訴求ポイント

他社とは異なり、課題の根本解決を図る方法

1. 動物病態モデルにおける比較試験においてマイクロディストロフィンを上回る薬効を確認
2. 上市済みの薬の薬効はまだニーズを充足しているとは言いがたく、市場浸透率は低いままである
3. 各社の開発する遺伝子治療薬も既存の方法の改良版で、大きな改善は望めない

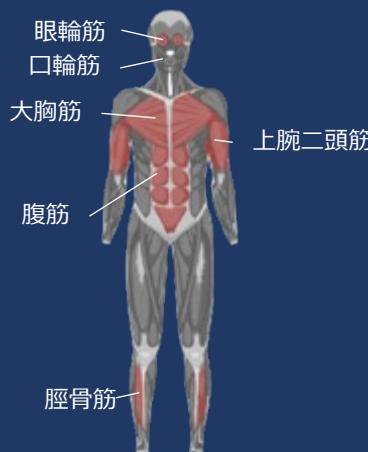


顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー(FSHD)

Dux4遺伝子を原因とする神経変性疾患

MDL-103

傷害性のあるDux4遺伝子産物の発現を抑制することで
ファーストインクラスとなり得る治療



罹患率

約1万-2万人に約1人

成人で最も頻度の高い筋ジストロフィー

発症

20代まで認識されないことが
多く、青年期に悪化する傾向

成人発症型と小児発症型に分ける専門家
もいる。成人発症型の方がはるかに一般
的である。

病態

顔面（目＆口）、肩、上腕、
手首、下腹部等の筋力低下

顔面、肩、腕と病態は進行一般的に病態
の進行は遅い
非対称（アンバランス）な筋力低下の症
状が見られる
筋力低下の範囲が広がることがある
視力障害、血管異常、聴覚障害など

原因

DUX4遺伝子の過剰発現

常染色体優勢遺伝, FSHD1(95%)、2(5%),
DUX4は本来生殖細胞で発現、体細胞で
は抑制

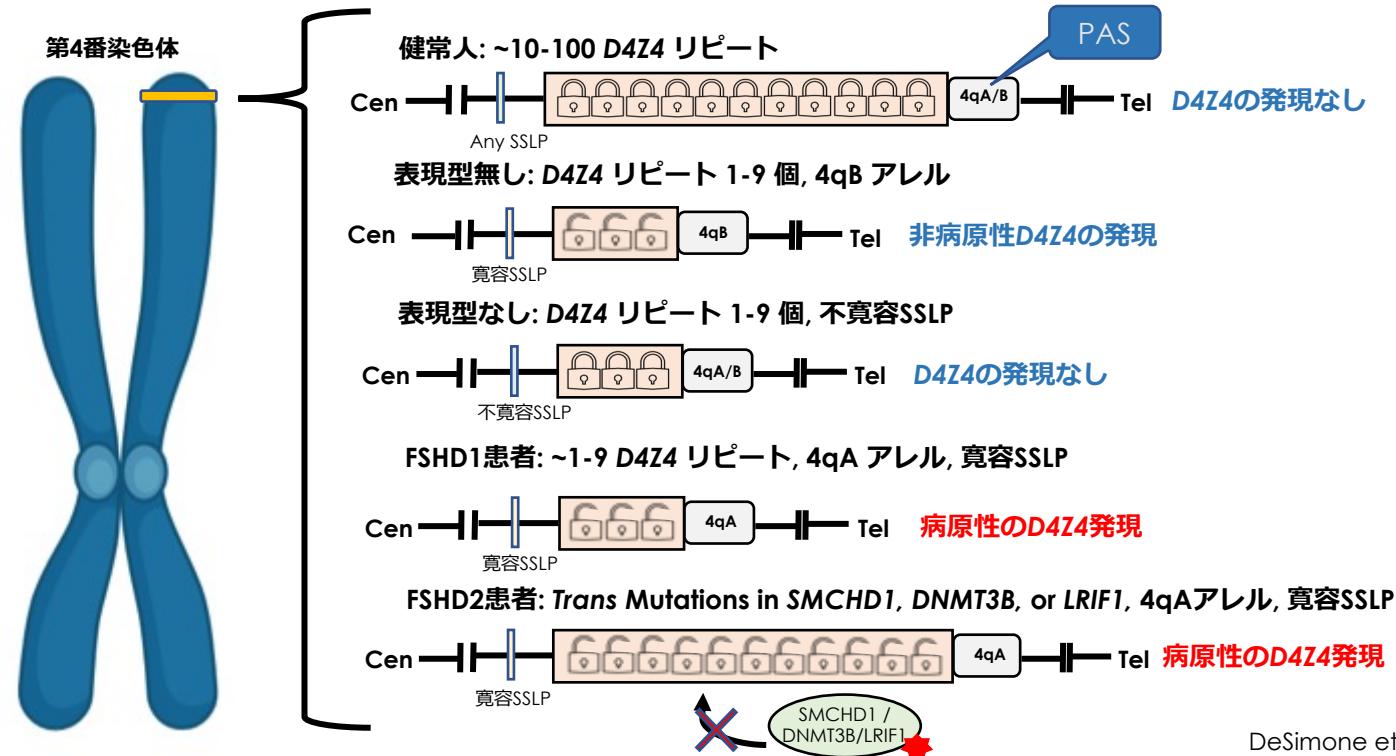
市場規模

\$500M以上
2022年

Source: <https://doi.org/10.1212/WNL.0000000000011425> Orphanet, Raymond A. Huml MD A concise guide

FSHDの病態メカニズム

骨格筋における毒性のあるDUX4の異常発現

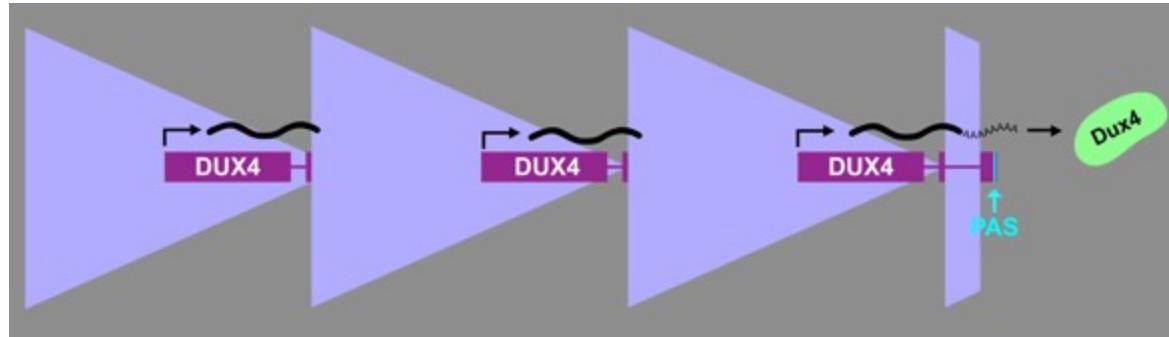


DeSimone et al. 2020, Dis Model Mech

SSLP: Simple Sequence Length Polymorphism(遺伝子多型) PAS: polyadenylation signal (ポリアデニル化シグナル)

なぜエピゲノム編集が有力な修復方法なのか？

細胞障害性のDUX4遺伝子産物は、最終リピートから読み出される



- 各D4Z4リピートにはDUX4遺伝子のコピーが含まれているが、**安定化シグナル (PAS)** が存在しないため、転写されたRNAは不安定である
- 最終リピート中のDUX4遺伝子は、アレイの末端を読み取ってPASを組み込むことができ（4qAハプロタイプが存在する場合）、その結果、病原性タンパク質が合成される
- ジストロフィーは、**DUX4タンパク質の細胞毒性**によって引き起こされると推定されている
- ①D4Z4領域のサイズ、②配列の大きさ、③10番染色体上にほぼ同じ配列が存在すること、④ゲノム上に個々のD4Z4が散在していることから、従来のCRISPR-Cas9による遺伝子置換、塩基置換、indel(フレームシフト)導入のアプローチは不可能である
- すべてのD4Z4の発現を阻害するCRISPRiアプローチを用いることが、より妥当なアプローチである。

SOLVE FSHD–Sponsored XPRIZE Healthspan Bonus Prizeを受賞



*"I prefer not to sit in the stands,
but to be on the court to solve
this disease that is so very close to
my heart."*

「私はスタンドに座るよりも、この
私の心に深く刻まれた病気を治すた
めにコートに立つことを望んでいま
す。」

Chip Wilson
Founder of SolveFSHD and



- リードgRNAの選択を行
い、特許を申請中
- FSHD治療薬開発を目指す
MDL-103を再起動
- 大学等研究機関とともに
動物モデルによる検証を
経て、臨床試験を目指す

モダリスのバリューハイライト

。



エピゲノム編集によって、他に治療法の無い疾患に治療法を提供



複数の動物種で、**薬効と安全性**を確認



製造法と臨床までの**薬事**的な道筋を確立



強力な**知財**ポートフォリオ



他にも、**中枢神経疾患**や**心筋症**など拡張性のあるパイプライン

+

。

主な進捗と今後予定されるマイルストーン

| | これまでの進捗 | 今後予定されるマイルストーン |
|-------------------|--|---|
| MDL-101 LAMA2-CMD | <ul style="list-style-type: none">マウス病態モデルでのPoCサルにおけるターゲットエンゲージメントPre-IND実施製造プロセスの確立ODD and RPDD受領データプレゼンテーション(7, 8, 9, 12月) | <ul style="list-style-type: none">GLP-ToxGMP製造IND (2025) |
| その他 | <ul style="list-style-type: none">動物モデルにおけるPoCを確立<ul style="list-style-type: none">MDL-201 (DMD)MDL-202 (DM1)MDL-104 (タウォオパチー)MDL-205 (エンジエルマン症候群)MDL-207 (ドラベ症候群)データ発表(MDFカンファレンスおよび米国遺伝子細胞治療学会(ASGCT): MDL-202)MDL-103 (FSHD)MDL-105 (DCM)xPRIZEによるMDL-103へのファンディングJCRとの共同研究第2ステップへ | <ul style="list-style-type: none">新キャプシド版MDL-201の動物モデルにおける検証中枢神経プログラムに最適なキャプシドの探索と投与ルートの検討パートナリングや助成金等による開発資金の手当て動物モデルにおけるPoC確立研究の継続と次のマイルストーンの達成 |

3. 直近の財務状況 および戦略について

Copyright and propri



2025年第1四半期末 財務状況(貸借対照表)

2025年以降の事業に向けて必要な一定水準の現金および預金を維持

(百万円)

| | 2024年12月期末 (A) | 2025年12月期 第1四半期末 (B) | 差異 (B)-(A) |
|---------|-------------------|----------------------------|---------------|
| 流動資産 | 3,617 | 3,606 | △10 |
| 現金及び預金 | 3,575 | 3,559 | △15 |
| 固定資産 | 74 | 69 | △4 |
| 資産合計 | 3,691 | 3,676 | △14 |
| 流動負債 | 117 | 342 | 225 |
| 固定負債 | 26 | 21 | △4 |
| 負債合計 | 143 | 364 | 220 |
| 純資産合計 | 3,548 | 3,312 | △235 |
| 負債純資産合計 | 3,691 | 3,676 | △14 |
| 自己資本比率 | 95.5% | 89.5% | |

NOTE

- 第2回社債、第14回、15回新株予約権によって約32億円の調達を完了

2025年第1四半期末 財務状況(損益計算書)

MDL-101プログラムの臨床試験に向けた活動費用が主なものとなり、事業費用632百万円を計上

(百万円)

| | 2024年12月期 第1四半期 (A) | 2025年12月期 第1四半期 (B) | 差異 (B) - (A) |
|-------|---------------------------|---------------------------|-----------------|
| 事業収益 | - | - | - |
| 事業費用 | 490 | 632 | 142 |
| 研究開発費 | 422 | 571 | 149 |
| 販管費 | 67 | 61 | △6 |
| 営業利益 | △490 | △632 | △142 |
| 経常利益 | △457 | △651 | △194 |
| 当期純利益 | △457 | △652 | △194 |

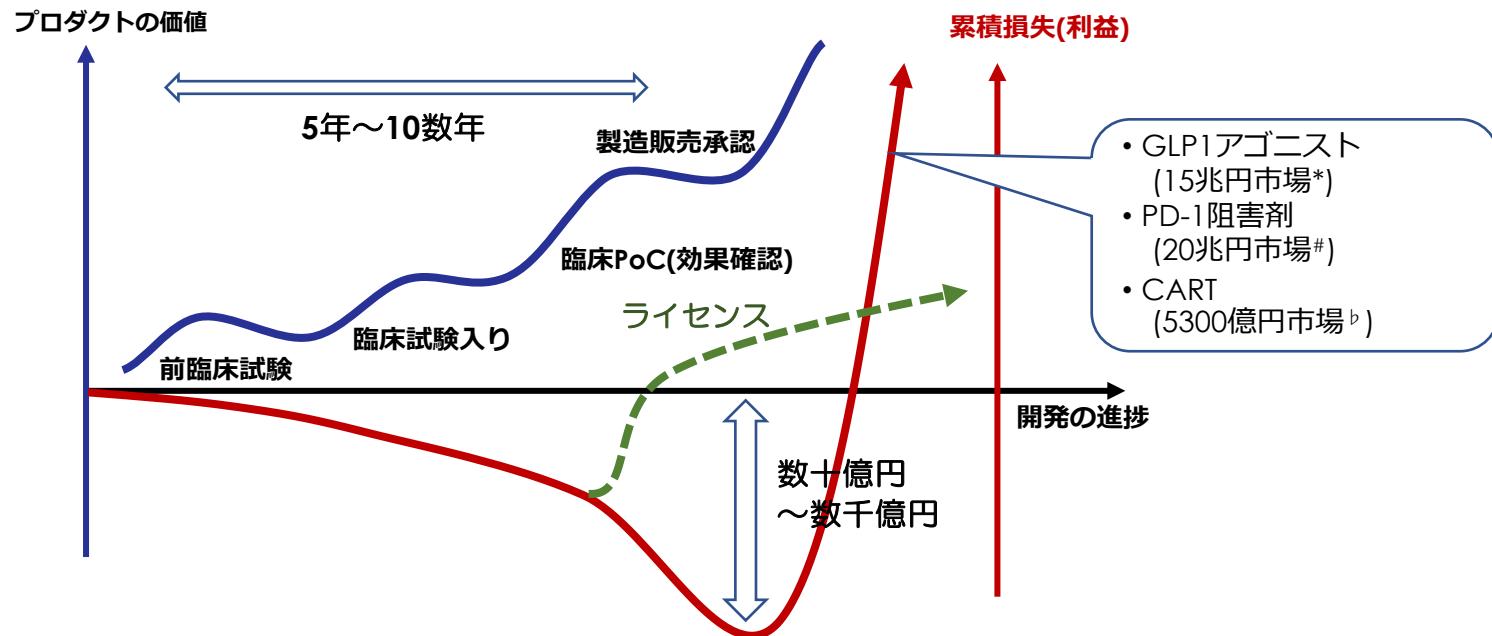
NOTE

- MDL-101 の臨床試験へ向けた前臨床試験および治験薬製造等の進捗に伴い費用が増加

バイオテック企業の企業価値と累積費用の推移イメージ

上手く行けば行くほど、お金がかかるのが医薬品開発

パイプライン価値と累積開発費のイメージ



しかし、成功の暁には莫大なリターンが得られる

Source: *岡三証券 “世界が熱狂する肥満症治療薬” *SkyQuest Industry forecast2023-2030 b Report Ocean “CAR T-CELL THERAPY MARKET BY DRUG TYPE”

パートナリング or 資金調達 に関する考察

パートナリングは株数の希薄化はおこらないが、利益の希薄化がおこる

$$\text{1株あたりのリターン(価値)} = \frac{\sum \text{パイプライン価値} \times \text{自社の取り分}}{\text{発行済株式数}}$$

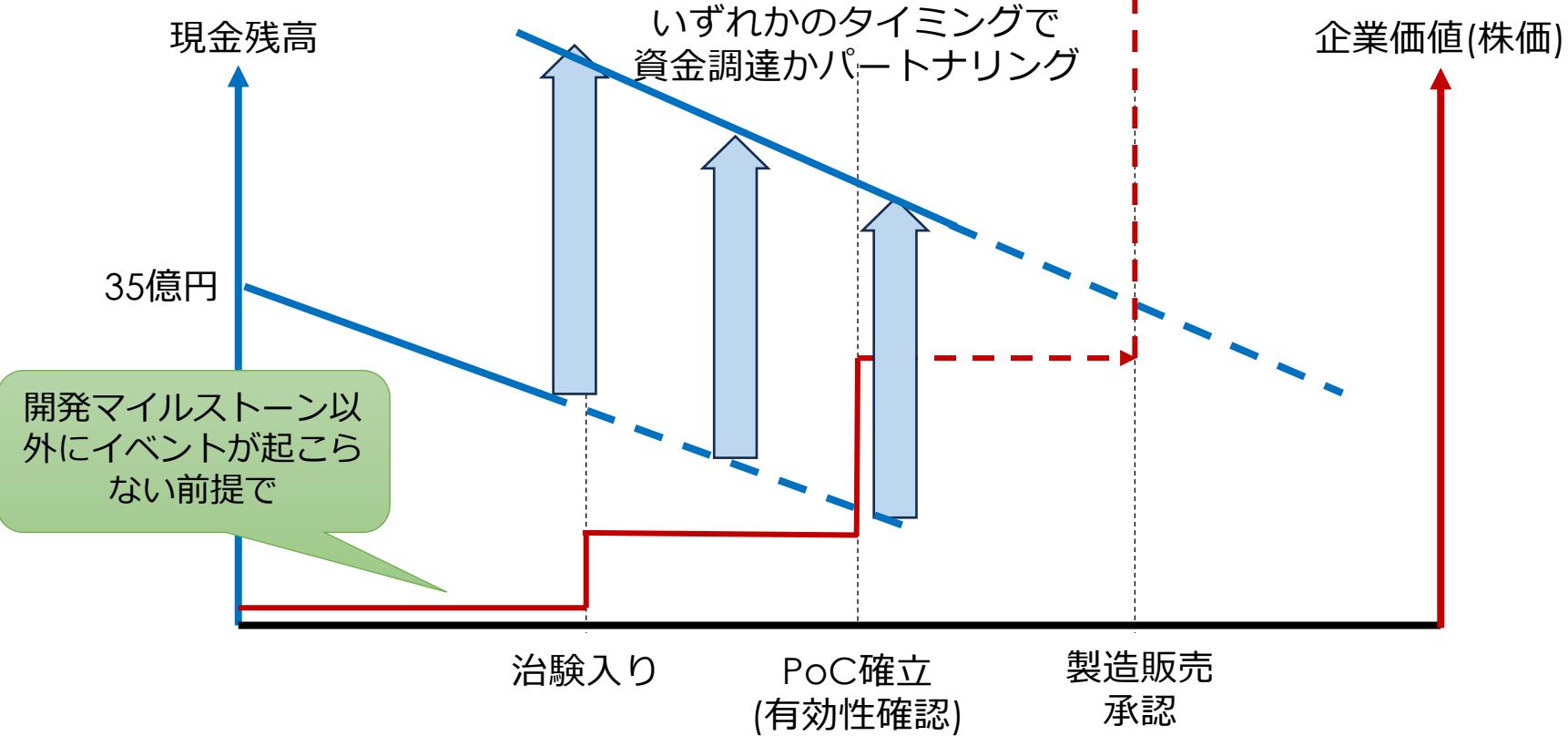
パートナリング
はこちらを毀損する

新株発行による
調達はこちらを
毀損する

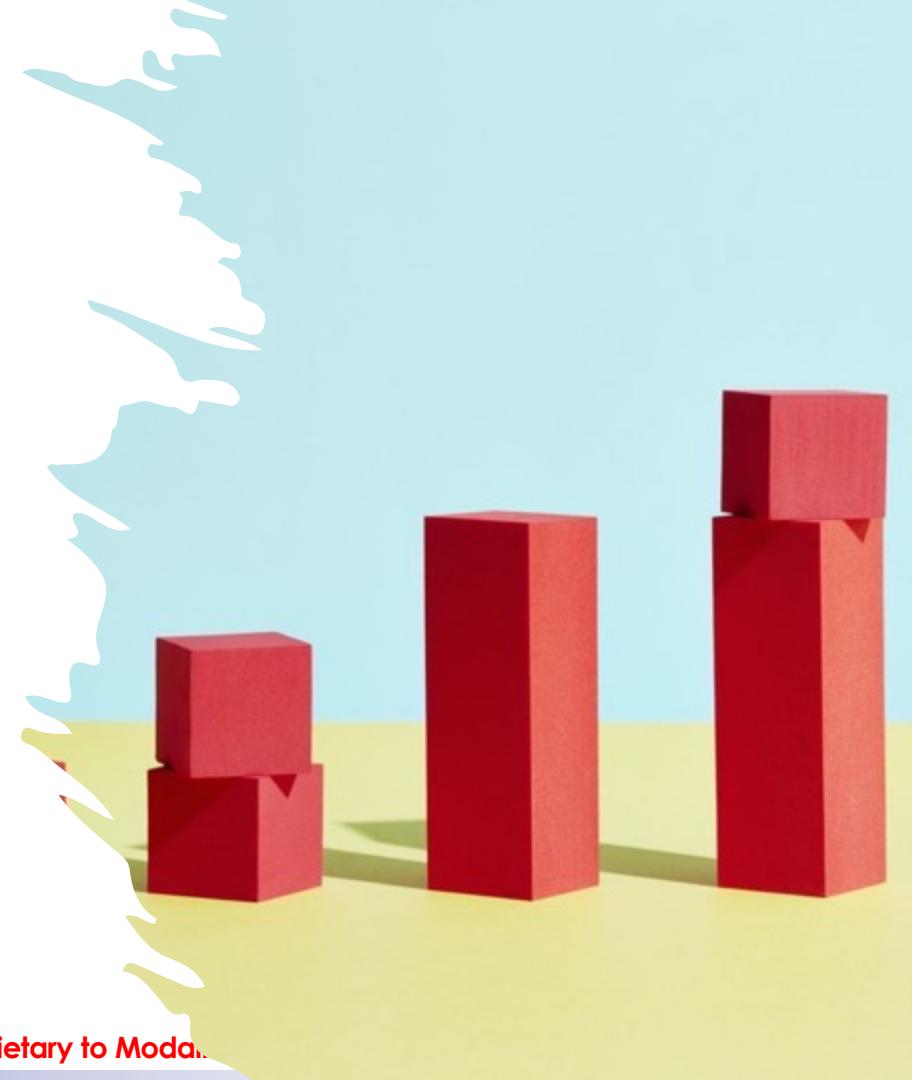
開発にはお金がかかるので、なんらかの方法で手当は必要

モダリスの今後の財務、企業価値(株価)はどうなるか?

治験入りで大きく価値が上昇。その間に発生する費用と現預金の競争

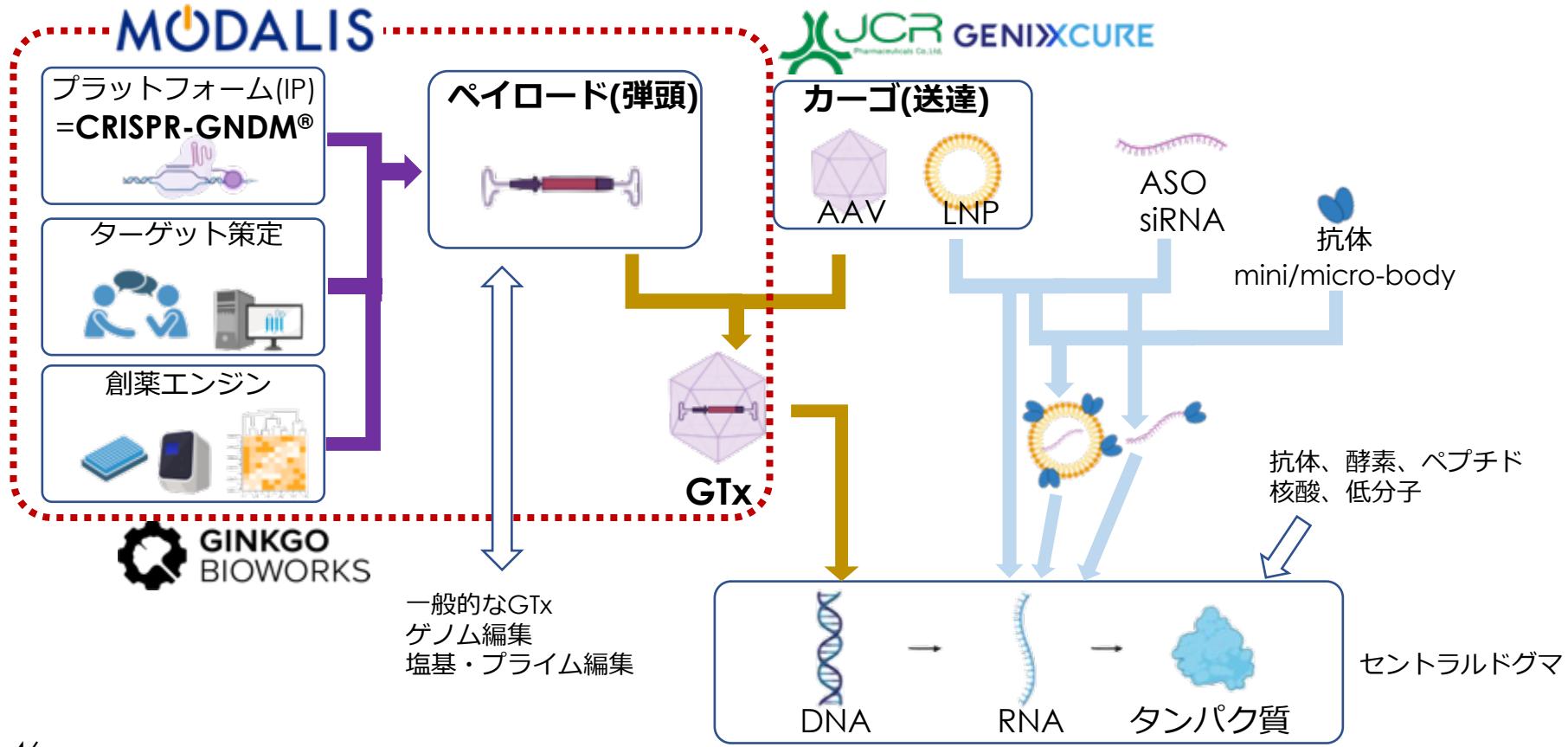


4. 成長戰略



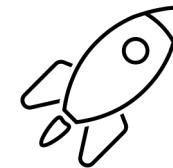
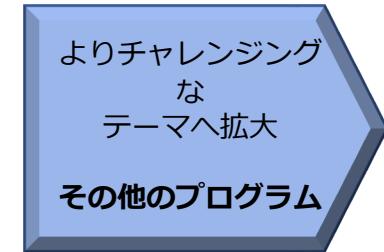
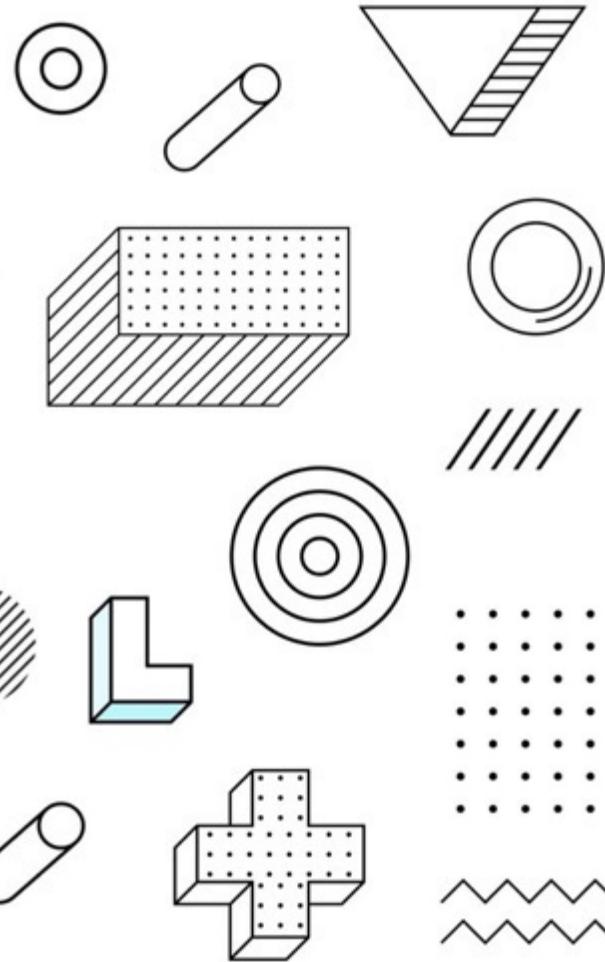
モダリスのコアコンピタンスと協業の状況

複雑化するゲームの中で、必要なケイパビリティは自社開発の他、提携のなかでアクセスを図る



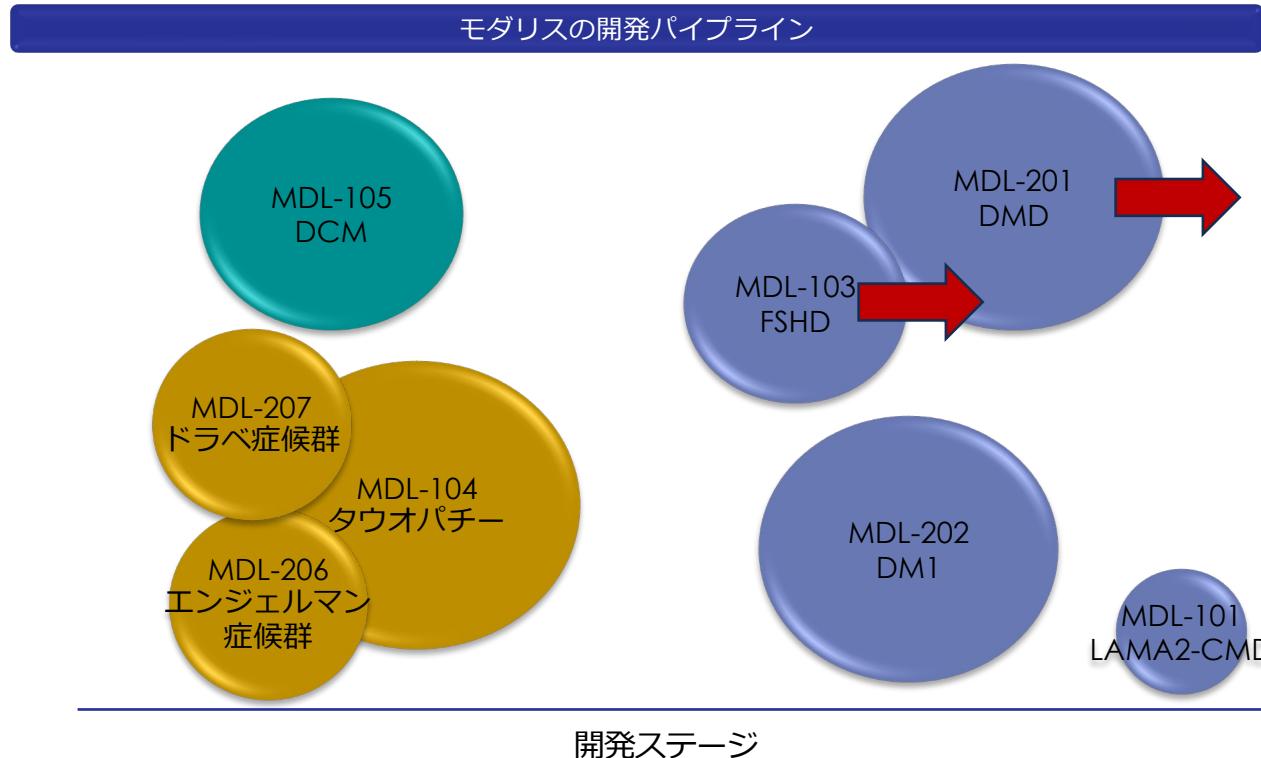
3段階の成長

それぞれミッションを持ったパイプライン群で可能性を最大化



開発パイプラインと市場規模のイメージ

MDL-101 で作る開発実績を、201、202などの大型パイプラインが追いかける





5. まとめ

モダリスには大きな成長可能性がある

- MDL-101の確かな効果と臨床試験に向けた着実な進捗
- MDL-201やMDL-103など市場の大きい後続のプログラムの進捗
- 当面の開発資金の充足