



2025年12月25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)

## MDL-101 の前臨床データに係る論文掲載に関するお知らせ

LAMA2-CMD 治療を目的としたエピゲノム編集技術に関する論文が **Human Gene Therapy** 誌に掲載

- CRISPR-GNDM<sup>®</sup> プラットフォームによる LAMA1 遺伝子活性化が LAMA2-CMD モデル動物で有効性を示す
- 乳幼児サルへの投与で良好な薬理動態と安全性を確認

2025年12月25日 東京都中央区およびマサチューセッツ州ウォルサム市 - モダリス株式会社 (TSE: 4883) は、エピゲノム編集技術を用いた LAMA2-CMD 遺伝子治療薬に関する研究論文「Efficient LAMA1 gene activation by epigenome editing as a therapeutic approach for LAMA2-CMD」が、ピアレビュージャーナル(査読誌)である *Human Gene Therapy* に掲載されたことをご報告いたします。

本研究では、重度の先天性筋ジストロフィーである LAMA2-CMD に対し、CRISPR-GNDM<sup>®</sup>技術を用いて LAMA1 遺伝子をエピゲノム的に活性化することで、マウスおよびサルモデルにおいて顕著な治療効果を示しました。

研究成果の主なポイントは以下の通りです。

- LAMA1 遺伝子の強力かつ選択的な誘導
- 筋肉特異的 AAV ベクターによる単回投与で、骨格筋および心筋において顕著な LAMA1 発現上昇を確認。
- LAMA2 欠損マウス (DyW モデル) での寿命延長と筋機能改善
- 低用量でも著明な筋再生および握力の改善を示し、長期生存率が有意に上昇。
- 非ヒト霊長類 (NHP) での安全性・薬理動態の確認
- 乳幼児サルでは半量投与にも関わらず高い LAMA1 誘導を示し、優れた薬理プロファイルを示した。

モダリスの CSO である山形哲也博士は、「本研究は、単一 AAV ベクターでの全身性エピゲノム編集により大型遺伝子を活性化した世界初の事例の一つです。この成果は、LAMA2-CMD のみならず、他の遺伝子欠損疾患への新たな治療戦略を示すものです。」と述べています。

この成果は、CRISPR-GNDM<sup>®</sup>プラットフォームに基づく MDL-101 の非臨床試験結果が、有効性と安全性の両方を示す明確な結果として、当該分野の科学コミュニティによって再確認されたことを示しており、来年に計画される臨床に向けた基礎情報として参照されることとなります。またこの成果は、この技術基盤を共有するその他のプログラムに対する信頼を裏付けることに繋がると考えられます。

MDL-101 の治験に向けた GLP 毒性試験および GMP 製造は順調に進捗しており、当社は完了次第に本成果を含めて治験申請を行う予定です。

### 論文情報

タイトル : Efficient LAMA1 gene activation by epigenome editing as a therapeutic approach for LAMA2-CMD

掲載誌 : Human Gene Therapy (<https://doi.org/10.1177/10430342251401873>)

著者： Yuanbo Qin, Talha Akbulut, Rajakumar Mandraju, Keith Connolly, Seth Levy, and Tetsuya Yamagata, et al. (Modalis Therapeutics)

#### モダリス株式会社について

モダリスは、CRISPR-GNDM<sup>®</sup>技術を基盤とし、ゲノムを切断せずに疾患関連遺伝子の発現を制御する「エピゲノム創薬」を展開するバイオテクノロジー企業です。先天性筋疾患などアンメットメディカルニーズの高い領域において、次世代の治療法を創出しています。

詳細は <https://www.modalistx.com> をご覧ください。

#### お問い合わせ先

IR・広報担当： [ir@modalistx.com](mailto:ir@modalistx.com)

以 上