

 2026年12月期第2四半期 決算説明資料

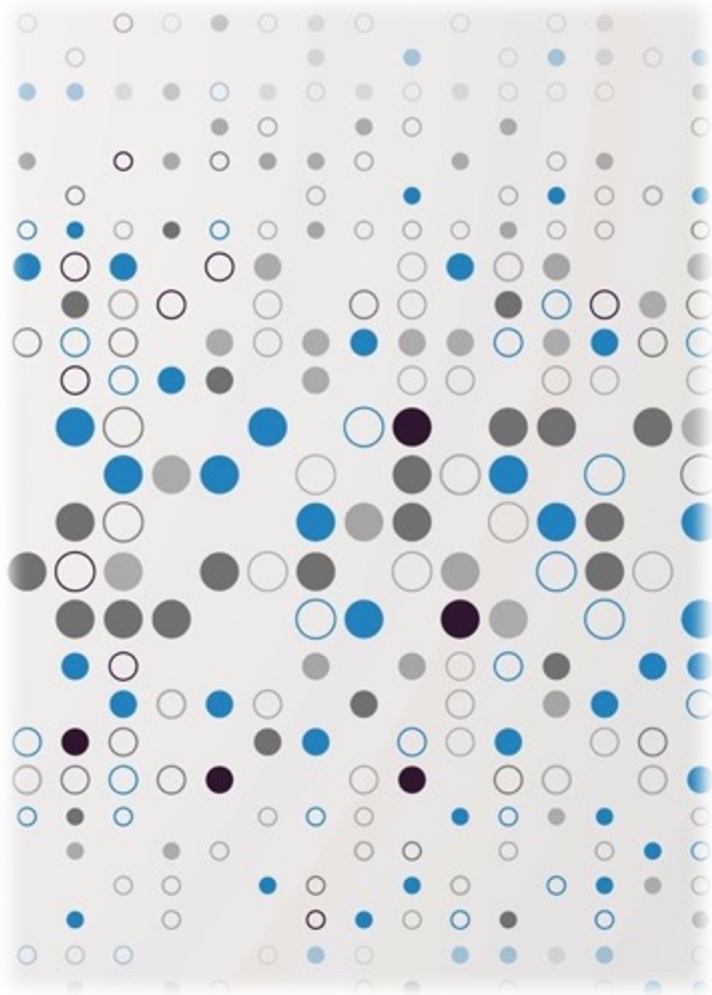
株式会社モダリス
証券コード：4883

2026年8月10日





0. 企業概要



会社概要 (2026年6月末現在)



Every Life Deserves Attention
全ての命に光を

会社名	株式会社モダリス (証券コード: 4883)
設立	2016年1月
代表者	代表取締役CEO 森田 晴彦
会社所在地	東京都中央区日本橋本町3-11-5 日本橋ライフサイエンスビル2 7F
米国法人	Modalis Therapeutics Inc. (43 Foundry Avenue, Waltham, Massachusetts)
資本金	885 百万円
発行済株式数	97,334,098株
従業員数	21名 (連結、うちPh.D. 8名) ([国内] 5名 [海外] 16名 契約社員を含む)

What is Modalis?

一つの遺伝子制御プラットフォーム

CRISPR-GNDM®
エピゲノム編集技術

↓
多様な疾患への遺伝子治療薬創製



有益な遺伝子を **ON** に
有害な遺伝子を **OFF** に

MODALIS バリュースタイル

次世代の遺伝子治療薬の開発

プラットフォーム: CRISPR-GNDM®

DNAを切断することなく、遺伝子の活性化および抑制を制御する

世界初

CRISPRによる遺伝子活性化治療を臨床試験に向けて開発

4

神経筋疾患を対象とした開発プログラム

2

動物種で有効性と安全性を確認

IND

にむけてMDL-101 が進捗中

競争優位性(Why it matters)

DNAを切断しない遺伝子制御

長期発現制御を実証

組織選択的デリバリーを確立

強固な知財ポートフォリオ

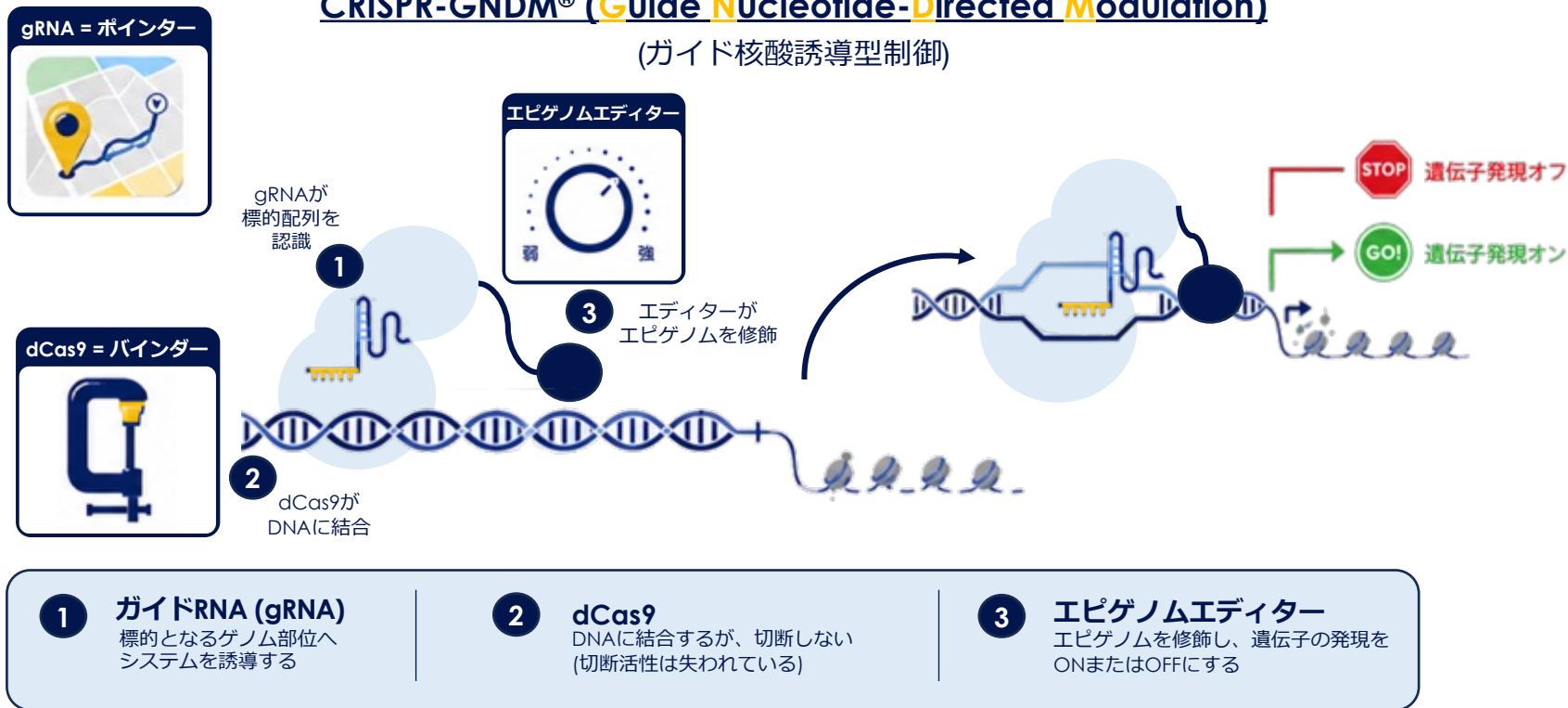
経験豊富なチーム

CRISPR-GNDM®の作用機序

GNDMはエピゲノムによって目的の遺伝子の発現量制御を正常化する

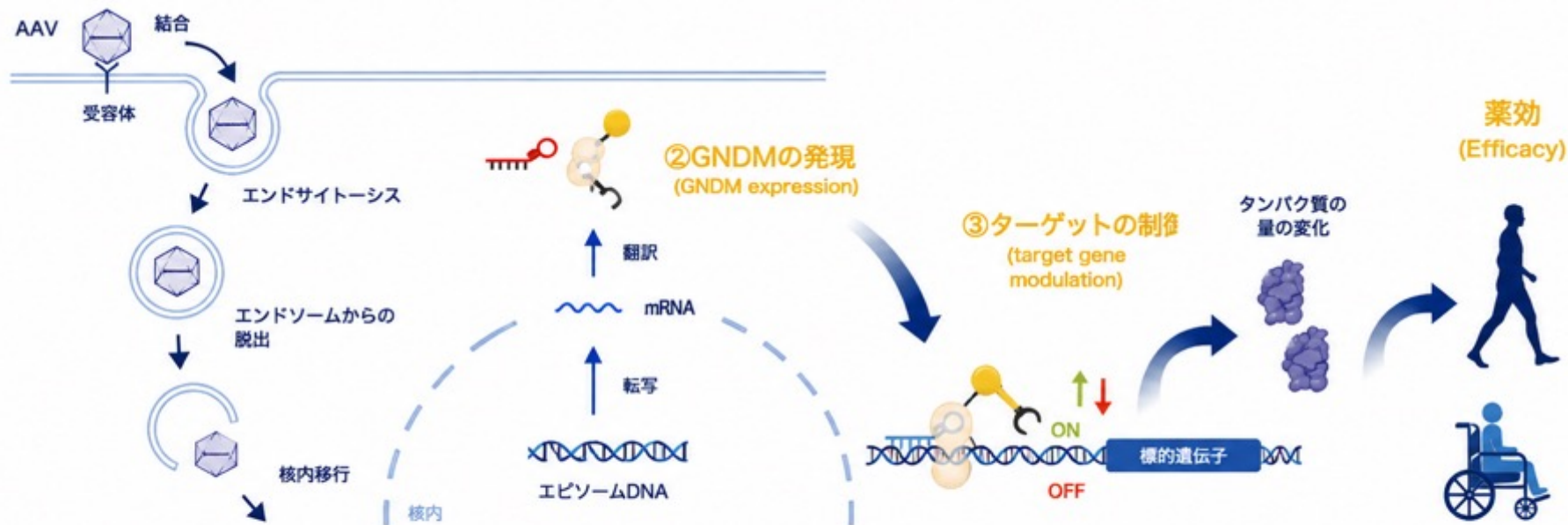
CRISPR-GNDM® (Guide Nucleotide-Directed Modulation)

(ガイド核酸誘導型制御)



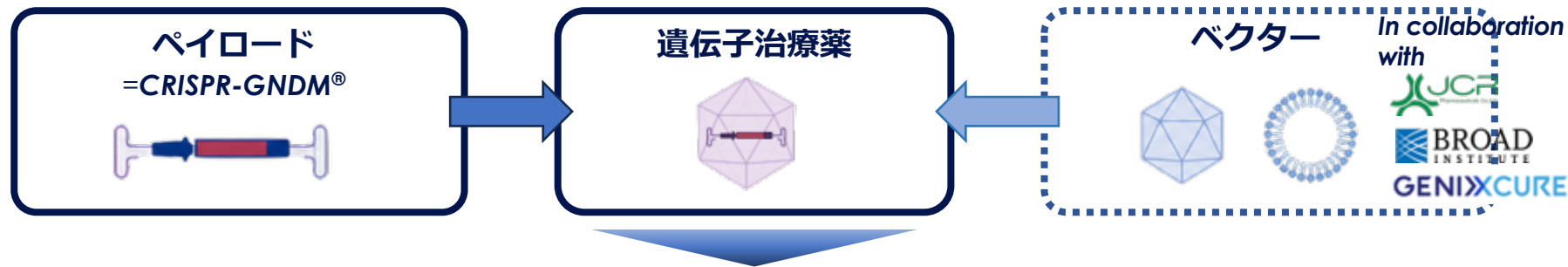
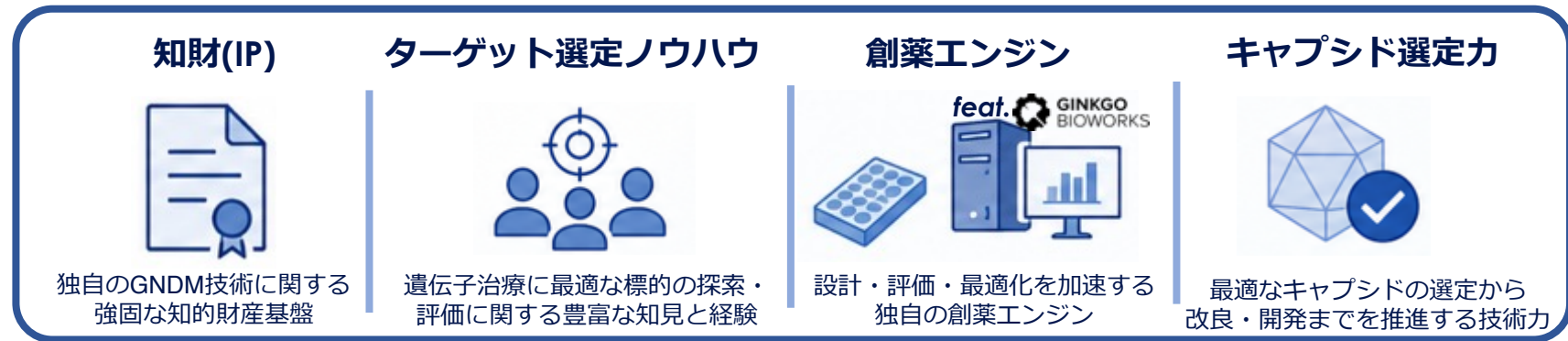
薬剤投与から薬効までの3段階

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



当社のコアコンピタンスはGNDMペイロード

知財、ターゲット選定ノウハウ、創薬エンジン、キャプシドの選定とその後の開発力



これらの強みを統合し、遺伝子治療の実現と患者さんへの価値提供を加速します

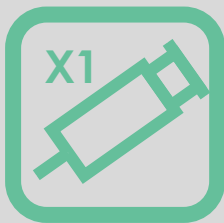
Our vision: *Every Life Deserves Attention*

CRISPRエピゲノム編集によって、希少疾患に根本的解決を提供する

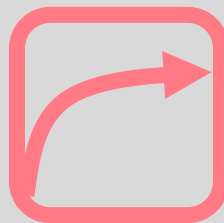
当社技術CRISPR-GNDM® 技術のもたらしうる効果の特徴



No Cut
遺伝子を
調節するだけ



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
治療を目指す

遺伝子治療薬の承認状況

遺伝性難聴治療薬Otarmeniが承認

USで承認されたin vivo遺伝子治療薬

製品名	承認年	薬価	対象疾患	開発企業	患者規模 ^{#1}	世界市場規模 (USD)
Luxturna	2017	\$850k	遺伝性網膜ジストロフィー	Roche(Spark)	10万人に2人	\$65M
Zolgensma	2018	\$2.1M	SMA ^{*1}	Novartis(Avexis)	新生児1.5万人に1人 数百~1千人/yrの新規患者が潜在	~\$1B ^{#1}
HEMGENIX	2022	\$3.5M	血友病B	uniQure/CSL Behring	3万人の男性に1人	\$3.2B
Vyjuvek	2023	\$631k/患者・年	DEB ^{*2}	Krystal	100万人に3.5~20.4人	~\$200M
Roctavian		\$2.9M	血友病A	BioMarin	5千人の男性に1人	\$11B
beqvez	2024	\$3.5M	血友病B	pfizer	3万人の男性に1人	\$3.2B
ELEVIDYS		\$3.2M	DMD ^{*3}	Sarepta	3500人の男子新生児に1人	\$4.1B
ltvisma	2025	\$2.6M	SMA	Novartis	Zolgensmaを2歳以上に適応拡大数千~1万人	~\$10B ^{*2}
Otarmeni	2026	TBD	遺伝性難聴	Regeneron	米国で1年に50人の新生児	\$130 million

出典: National Organization for Rare Disorder、#2 Fierce Biotech #3各社ウェブサイト #4Grand view research社 #5 Fortune Business Insight #6 Mordor Intelligence, 2026

*1: Spinal muscular atrophy(脊髄性筋萎縮症) *2: dystrophic epidermolysis bullosa *3: Duchenne muscular dystrophy *4: severe leukocyte adhesion deficiency type I (重症白血球接着不全症1型) #1: 患者数を500人として推定 #2: 患者数を5000人として推定

エピゲノム編集の競合環境

新規参入もあり競争は激化。だが活性化は依然としてモダリスだけ

企業	設立年	投資ステージ	プラットフォーム	リードプログラム/対象疾患	開発ステージ
MODALIS	2016	公開	CRISPR-GNDM x AAV	MDL-101/LAMA2-CMD 遺伝子活性化	IND enabling試験中
Tune	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	Clinical Ph1が香港、NZおよび モルドバでCTA承認
nChroma	2021	Chromaと Nvelopが合併 (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	P1/2
Epicrispr	2022	シリーズB (\$68M, 2025年)	DNMT融合Cas12f x AAVrh74	EPI-321/FSHD 遺伝子抑制化	P1/2
Epigenic	2022	シリーズB (\$60M, 2025)	dCas+editor x LNP	EPI-001 PCSK9高コレステロール血症 遺伝子抑制化	中国IIT
Scribe	2018	SerC? (\$75M, 2025)	dCas+repressor x LNP	STX1150 PCSK9高コレステロール血症 遺伝子抑制化	IND enabling
Mammoth	2017	Corp.Minority (\$95M 2024)	miniCas x editor x LNP	MB-111 APOC3 for高トリグリセリド血症 遺伝子抑制化	IND enabling

INDEX



1. 事業の状況
2. 財務の状況
3. 成長戦略
4. まとめ
5. Q&A





1. 事業の状況

1.第2四半期のトピックス

AGENDA



01

MDL-101の開発状況と今後の見通しについて



02

その他のプログラムの開発状況

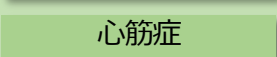


03

財務およびその他事業の状況

パイプラインの状況

MDL-101を中心とした神経筋疾患フォーカスして開発

				初期開発/前臨床			臨床試験	
Code	疾患名 /疾患領域	モード	所有権	探索／研究	リード 最適化	IND Enabling	前期臨床	ピボタル
MDL-101	LAMA2-RD*1	 ON	Modalis					
MDL-202	DM1*2	 OFF	Modalis					
MDL-201	DMD*3	 ON	Modalis					
MDL-103	FSHD*4	 OFF	Modalis	  				
MDL-105	DCM*5	 ON	Modalis					
MDL-104	タウオパチー	 OFF	Modalis					
MDL-206	エンジェルマン 症候群	 ON	Modalis					
MDL-207	ドラベ症候群	 ON	Modalis					

*1: LAMA2-related 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: Duchenne 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

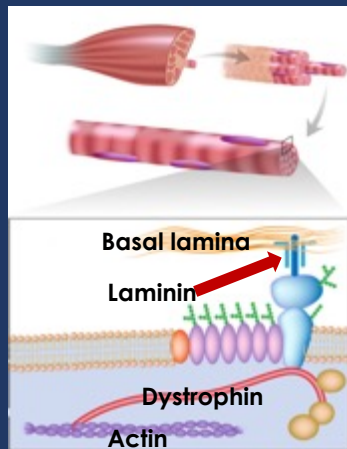
*5: Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

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種

MDL-101

LAMA2-CMDに対する
あらゆるモダリティを含
めて初めての治療法



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



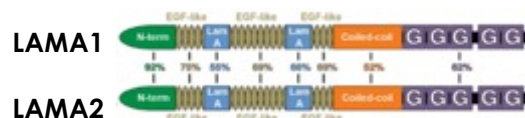
Source: *Estimating the Prevalence of LAMA2 Congenital Muscular Dystrophy using Population Genetic Databases (2023)

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およびLAMA2は、約9kbの高い配列相同性を持つ姉妹遺伝子で、類似したラミニン α 鎖をコードする



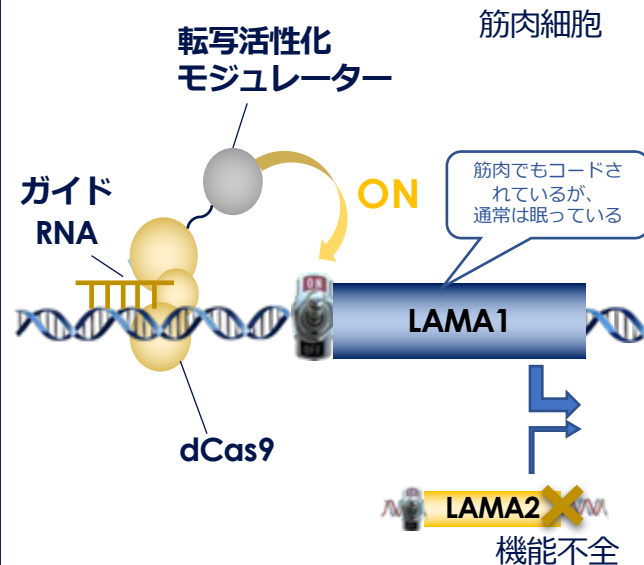
✓ 高い相同性により、LAMA1の発現を誘導することでLAMA2の機能を代替可能

組織ごとのLAMA1および2の発現パターン



✓ LAMA1は通常は筋肉ではサイレント

CRISPR-GNDM®によるLAMA1の標的活性化



✓ LAMA1をオンにすることで、LAMA2欠損による機能を補完



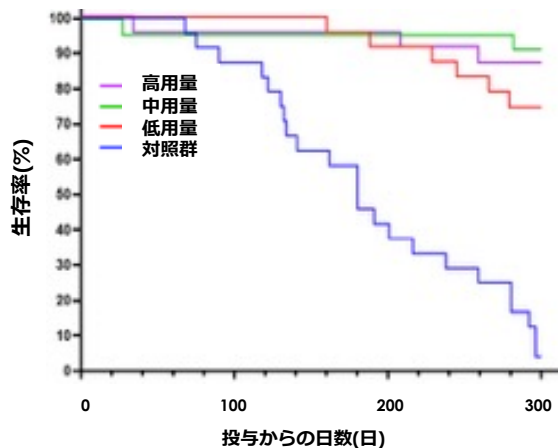
CRISPR-GNDM®は、姉妹遺伝子LAMA1を標的にすることで、LAMA2欠損症の筋機能回復を目指す



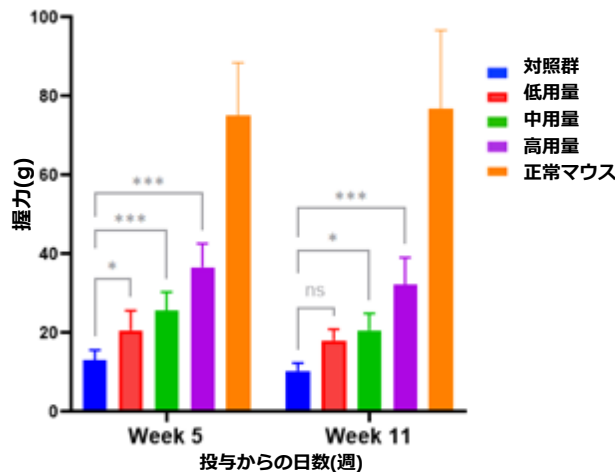
病態モデルマウスにおける体重、握力、生存曲線、ヘルススコアの改善

IND enablin試験ではmMDL-101投与によって病態モデル動物の症状と生存率を改善したが、背景にはGNDMとLAMA1の持続的な発現がある

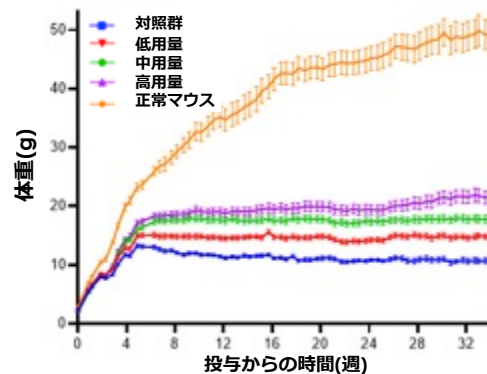
mMDL-101による生存率の改善



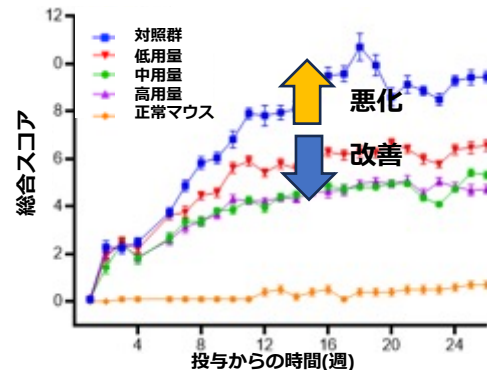
mMDL-101による握力の改善



体重



健康スコア



GNDMおよびLAMA1の持続的な発現

MDL-101:IND申請に向けた主要マイルストーンが前進

非臨床・CMC・臨床準備の主要項目が具体化し、2026年末から2027年1QのIND申請を目標とした開発計画の視認性が向上

1



マウスIND-enabling試験を完了

疾患モデルマウスにおいて、標的組織への導入、導入遺伝子発現、LAMA1上昇および薬理学的有効性を確認しました。

2



NHP追加検証で臨床移行を支持

複数CROで筋組織への導入およびLAMA1発現上昇を確認し、前処置プロトコル最適化により薬効評価に影響し得る要因への対応方針が明確化しました。

3



GMP製造を含むINDに向けた実行計画が具体化

- GLP毒性試験の追加試験が進展 (2026年9月上旬投与開始、3か月データ取得・評価)
- GMP製造 (plasmid GMP進行中、AAV製造は3Q開始)
- 治験実施体制およびIND申請に向けた準備が前進



MDL-101は2026年末～2027年1QのIND申請を目標に臨床意向に向けた開発を推進

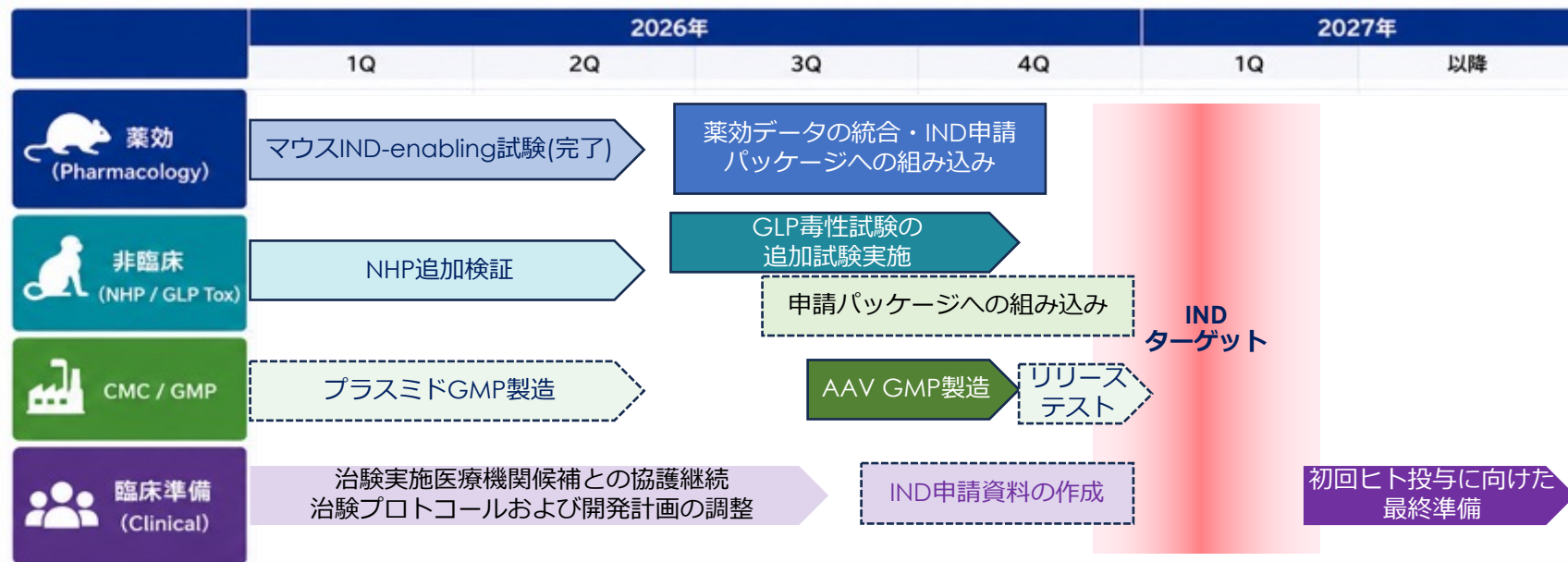
MDL-101：IND申請に向けた主要ワークストリーム

非臨床・CMC・臨床準備の各ワークストリームが計画通り進捗し、2026年末から2027年1QのIND申請を目指す。

ワークストリーム	現在の進捗（2026年7月時点）	次の主要ステップ
1  薬効 (Pharmacology)	- 疾患モデルマウスのIND-enabling試験を完了 - VCN、transgene (Cas9)、LAMA1の核酸・タンパク発現上昇を確認 - 生存率の改善、筋肉機能の回復およびその持続を裏付ける biological dataを取得 - IND申請に向けた薬理学的有効性を確認	IND申請用パッケージの一部としてデータを統合
2  非臨床 (NHP / GLP Tox)	- 複数CROでサル筋肉組織への遺伝子導入を確認。GNDM構成要素およびLAMA1の発現上昇を確認 - 前処置プロトコルの最適化により、ベクター導入および薬効評価に影響し得る要因への対応方針が明確化 - GLP毒性試験の追加試験実施に向けた準備が進展（CROを選定、実施契約を締結）	- GLP毒性試験の追加試験を2026年9月上旬に開始 3か月データの取得・評価
3  CMC / GMP	- 改変ベクターでplasmid GMPに着手 - AAV GMPの計画をCROと整合（3Q製造開始、4Q終了予定） - 原薬・製剤のGMP製造およびリリース計画が具体化	- GMP製造の実施 - 品質試験および安定性試験の実施
4  臨床準備 (Clinical)	- 治験実施医療機関候補との協議を継続 - 治験プロトコールおよび開発計画の調整を実施中 - IND申請に向けた体制整備が進捗	- IND申請書類の作成・内部レビュー - IND申請に向けた最終準備

MDL-101：IND申請に向けた今後の主要マイルストーンと見通し

各ワークストリームの具体化により、2026年末から2027年1QのIND申請に向けた見通しがより明確化
非臨床・CMC・臨床準備を着実に推進し、初回ヒト投与（FIH）の実現を目指す。



目標

- ・ IND申請：2026年末～2027年1Q（目標）
- ・ 初回ヒト投与（FIH）：IND申請後、速やかに開始

前提・リスクと対応

- ・ GLP毒性試験のスケジュール：3か月データ取得・評価を想定
- ・ 製造スケジュール：AAV GMPは3Q開始、クリティカルパスで管理
- ・ 規制・契約・外部要因：継続的にモニタリングし、計画達成に向けて柔軟に対応

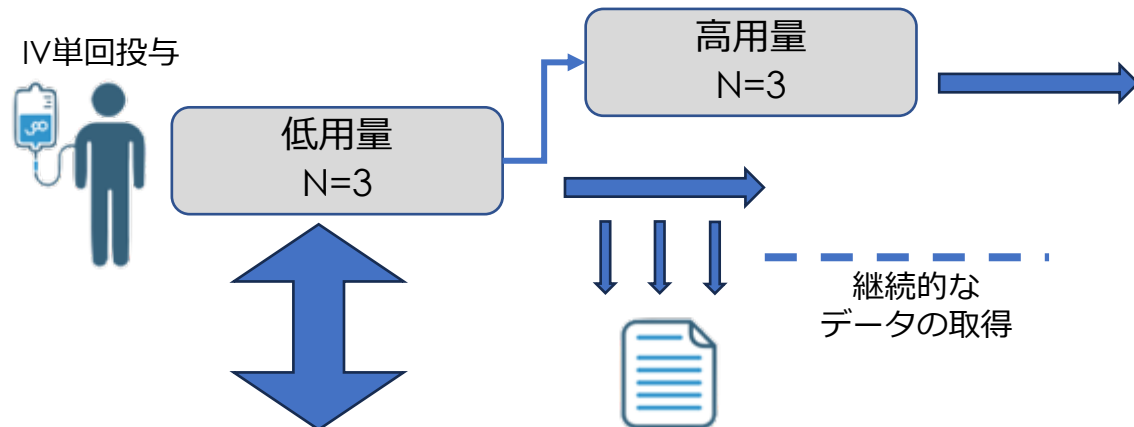
MDL-101は、強固なデータベースと具体化した実行計画に基づき、
2026年末から2027年1QのIND申請、そして初回ヒト投与の実現を目指す。

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

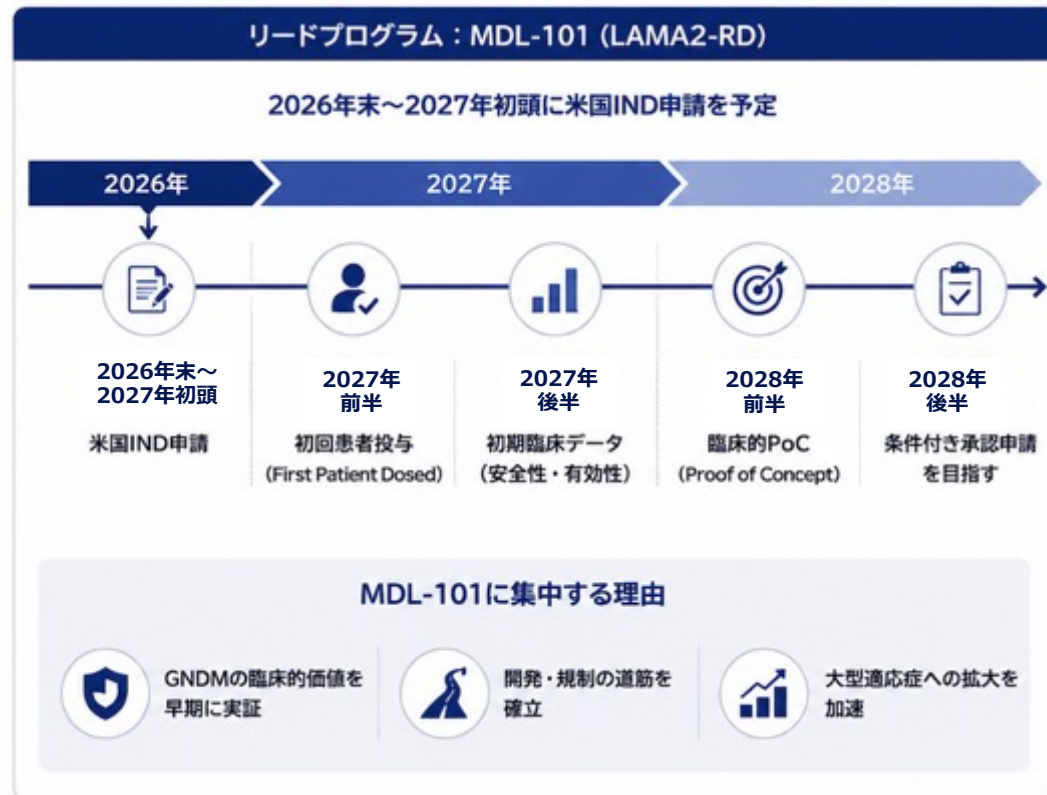
- 5歳以下の患者。
- 遺伝子検査で確認された、両アレルに病源性変異を有するLAMA2遺伝子変異。
- 重度のLAMA2欠損症（LAMA2-RD）臨床表現型。自立歩行または座位維持が困難。
- AAV9 抗体陰性。



後方視的解析	自然経過観察試験
Hinkley et al., 2024 (NCT04299321) • 60 LAMA2-RD < 5 years old	NCT06132750 (LAST STRONG) • 40 (est.) LAMA2-RD or SELENON-RM patients • Est. completion Sept 2026
Zambon et al., 2020 • 42 LAMA2-RD < 18 years old • 8 'complete deficient' < 5 years old	NCT06354790 (Institut de Myologie, France) • 60 (est.) LAMA2-RD 2 to 15 years old • Est. completion Jan 2028
	NCT06503367 (READY CMD LAMA2) • 44 (est.) LAMA2-RD < 5 years old • Est. completion Sept 2028

開発の優先順位と主要マイルストーン

リソースをMDL-101に集中投下し、GNDMの臨床的価値を早期に実証。将来のパイプライン拡大につなげる



MDL-101の成功を足がかりに、パートナーシップや資金調達を活用し、筋疾患および中枢神経領域のプログラムを段階的に拡大していきます。

Pipeline Update

MDL-101を最優先に、主要パイプラインが着実に進展。GNDMプラットフォームの拡張と検証を推進中

プログラム (作用標的)	対象疾患	研究・開発ステージ	直近の主な進捗	今後の主な予定
MDL-101 (LAMA1活性化)	ラミニンα2欠損症 (LAMA2-RD)	IND申請準備 (2026年末~2027年1Q 申請目標)	- マウスでのIND-enabling試験を完了 - 複数CROによるNHP追加検証で筋組織への導入およびLAMA1発現上昇を確認 - 前処置プロトコルの最適化により、ベクター導入および薬効評価に影響し得る要因への対応方針が明確化	- マウスでのIND-enabling試験を完了 - 複数CROによるNHP追加検証で筋組織への導入およびLAMA1発現上昇を確認 - 前処置プロトコルの最適化により、ベクター導入および薬効評価に影響し得る要因への対応方針が明確化
MDL-201 (Utrophin活性化)	デュシェンヌ型 筋ジストロフィー (DMD)	前臨床 (PoC検証・最適化)	- 病態モデルマウスで運動機能および筋病理の改善を確認 - uDysの約1/10の用量で同等の効果を確認 - キャプシド選定およびペイロード最適化を推進	- NHPでのTarget Engagement試験実施 - グローバル連携やパートナーリングを推進 - 臨床候補構築に向けた最適化を継続
MDL-202 (DMPK抑制)	筋強直性 ジストロフィー タイプ1 (DM1)	前臨床 (PoC検証)	- マウスでDMPK発現の強力な抑制を確認 (心筋・横隔膜筋を含む複数組織) - ASGCT 2026にて研究成果を発表	- 非臨床データの拡充 - 開発戦略の具体化およびパートナーリングの検討 - 臨床候補の確立に向けた取り組みを継続
MDL-103 (DUX4抑制)	顔面肩甲上腕型 筋ジストロフィー (FSHD)	前臨床 (PoC検証)	- マウスモデルでDUX4発現の抑制を確認 - ASGCT 2026にて研究成果を発表 - SolveFSHDの助成事業とUMASSとの共同研究を推進	- 非臨床データの拡充 - 開発戦略の具体化およびパートナーリングの検討 - 臨床候補の確立に向けた取り組みを継続
未来プログラム	アルツハイマー病、 エンジェルマン症候 群などCNS疾患およ びTitin心筋症(DCM)	探索段階 (共同研究)	- JCRファーマとの戦略的提携により、GNDMとJUST-AAV® (BBB透過技術) の連携を推進 - ADを含む複数CNS疾患の早期検討を実施	- 適応疾患および開発戦略の検討を深化 - 非臨床PoCの確立に向けた研究を推進 - パートナーリング機会の探索



MDL-101のIND申請に向けた準備を最優先で推進するとともに、プラットフォームの価値を最大化し、複数の遺伝性・希少疾患領域でパイプラインの拡充を進めています。

ASGCTおよびFSHD Society 2026 International Research Congressにおけるデータ発表

米国遺伝子細胞治療学会(ASGCT)

- タイトル: Pairing AAV genome and capsid engineering of an epigenetic-editing modality to develop a best-in-class treatment for Myotonic Dystrophy Type 1 (DM1)
- タイトル: Epigenetic suppression of Dux4 using CRISPR-GNDM technology as a therapeutic for FSHD

FSHD Society 2026 International Research Congress

- タイトル: Epigenetic suppression of DUX4 using CRISPR-GNDM technology as a therapeutic for FSHD





2. 財務の状況

@ 2026年12月期第2四半期末

2026年 第2四半期末 財務状況(貸借対照表)

第2回普通社債の3億円によりキャッシュポジションが改善。同時に負債が増加。

(百万円)

	2025年12月期末 (A)	2026年12月期 第2四半期末 (B)	差異 (B) - (A)
流動資産	2,892	3,083	191
現金及び預金	2,812	3,015	203
固定資産	71	52	△19
資産合計	2,964	3,136	172
流動負債	134	669	535
固定負債	36	3	△33
負債合計	170	673	502
純資産合計	2,793	2,462	△330
負債純資産合計	2,964	3,136	172
自己資本比率	93.0%	76.9%	

NOTE

- ・ 研究開発投資は継続しつつ、新株予約権行使が進行し現金及び預金が増加。
- ・ 普通社債の発行により流動負債が増加。

2026年第2四半期末 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1,000百万円を計上

(百万円)

	2025年12月期 第2四半期 (A)	2026年12月期 第2四半期 (B)	差異 (B) - (A)
事業収益	-	-	-
事業費用	1,031	1,000	△31
研究開発費	906	911	5
販管費	125	88	△37
営業利益	△1,031	△1,000	31
経常利益	△1,019	△965	53
当期純利益	△1,020	△920	△100

NOTE

- MDL-101を中心とした開発活動進展に伴い研究開発投資を継続。一方で、資本政策および外部資金活用を含む財務戦略を継続的に推進。

臨床PoCの実現と持続的な成長に向けた資金戦略

MDL-101を臨床に進めて価値を実証し、プラットフォームの可能性を広げる

① 開発には引き続き資金が必要



臨床開発の推進および後続パイプラインの価値最大化のために、継続的な資金確保が不可欠です。

② 今回のファイナンスはMDL-101のPoC実現のため

MDL-101
LAMA2-CMD



臨床試験 (FIH)

調達資金はMDL-101を臨床に進め、安全性と有効性のPoCを取得するために使用します。

③ プラットフォームの検証が企業価値向上につながる



MDL-101の
価値実証



CRISPR-GNDM®
プラットフォームの
検証

PoCの達成はMDL-101の価値向上に加え、当社プラットフォームの有効性を示し、企業価値の向上に直結します。

④ 後続プログラムには大きな成長機会

MDL-201 (DMD)

MDL-103 (FSHD)

その他パイプライン

MDL-201およびMDL-103をはじめとする後続プログラムにも積極的に資金を投入し、大きな成長機会を追求します。

今回のファイナンスによって創製しようとしている価値

普通社債
3億円

第19回新株予約権
240千個(24百万株)
14.4~24億円*



- MDL-101の臨床PoC
- CRISPR-GNDM® 技術プラットフォームの検証

後続プログラムへの投資(成長機会の最大化)



- USおよび各国における条件付き承認へのパスの現実化→自社販売実現への可能性

- 後続大型プログラムの成功確率の増大



今回の資金調達を原動力に、MDL-101のPoC達成と後続プログラムの成長を通じて、持続的な企業価値の向上を目指す



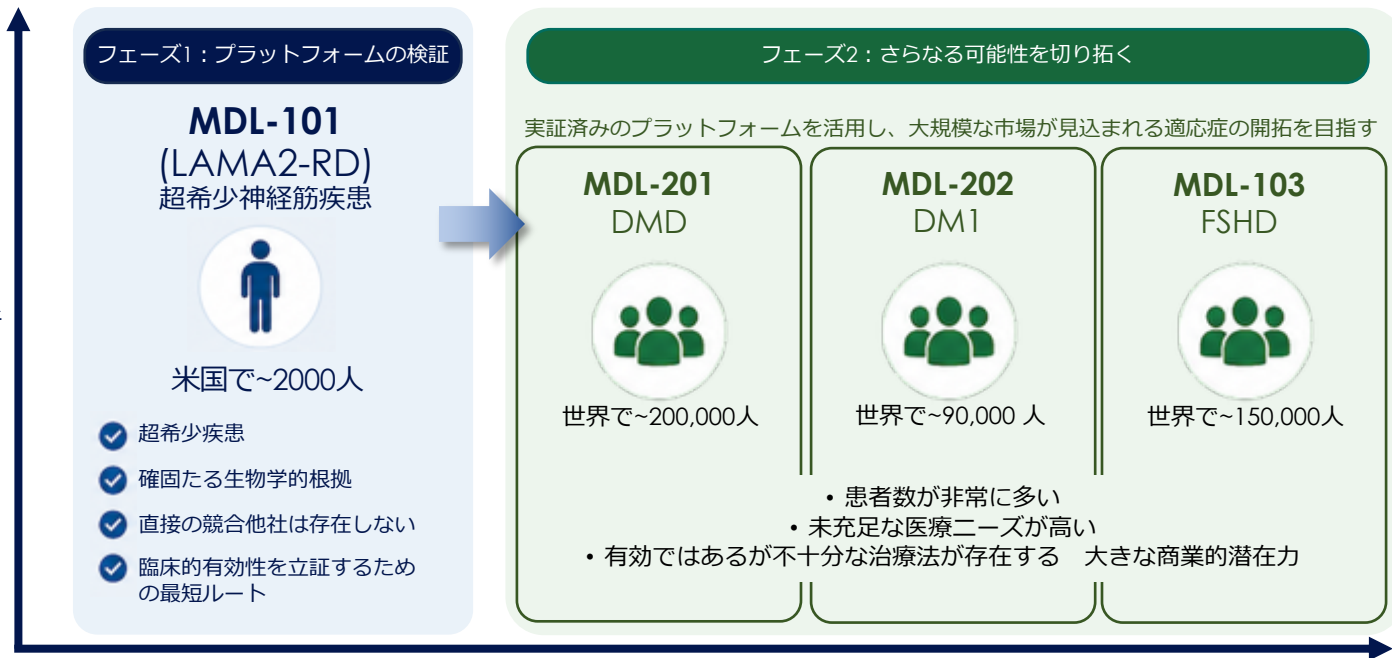
3. 成長戦略



2軸の成長の機会

成長は、主力プログラムの開発進捗と、より広範な適応症への拡大という2つの要因によって牽引される

パイプライン拡張
より多くの患者層や新
たな適応症への展開



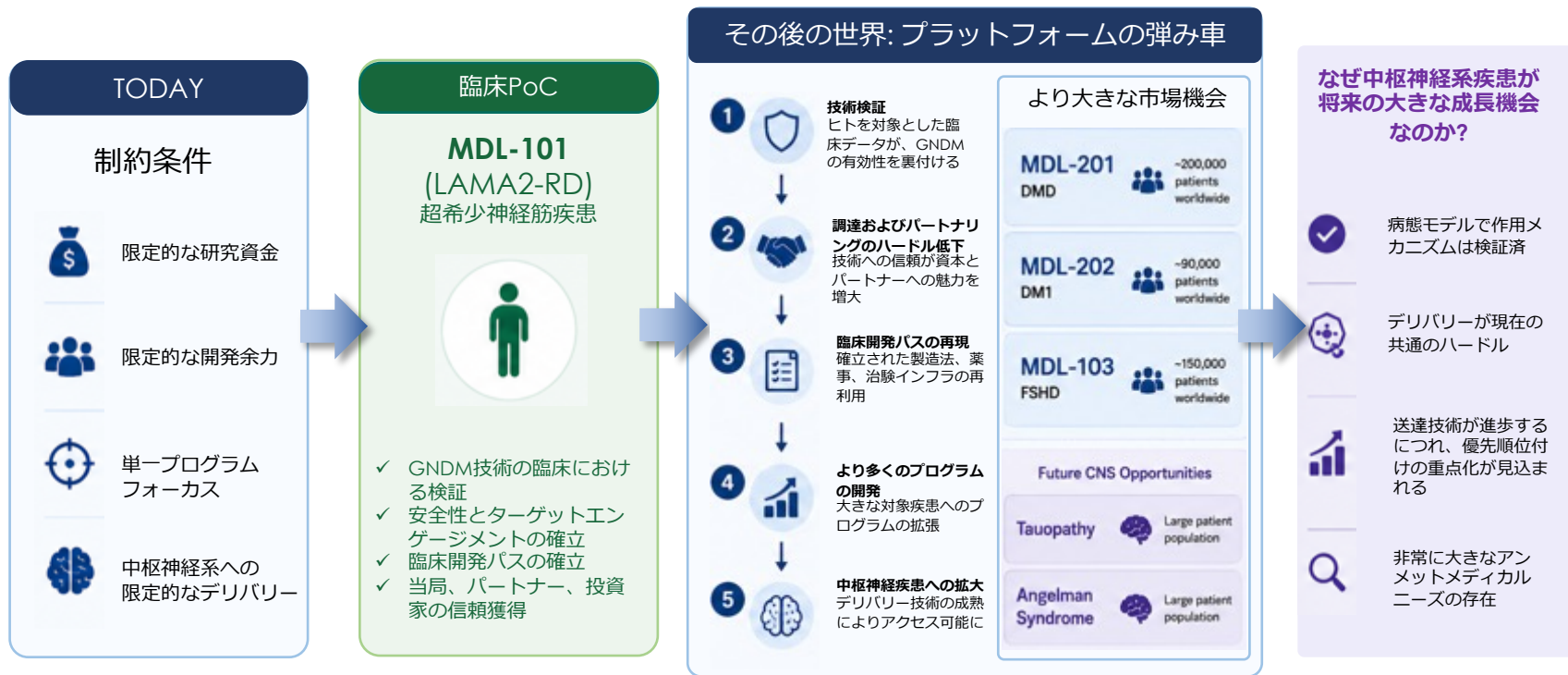
開発の進捗 臨床開発を推進し、リスクを低減することで、次の段階のプログラムを実現する



MDL-101の臨床的有効性が実証されれば、開発リスクの低減、資金調達の円滑化、およびより広範な適応症への展開の加速が期待される。

MDL-101の有効性検証から幅広いプラットフォームへの拡大へ

MDL-101の臨床的有効性実証により、資金調達、提携先、そしてリソースを確保し、多様なパイプラインを推進して長期的な価値を創出する

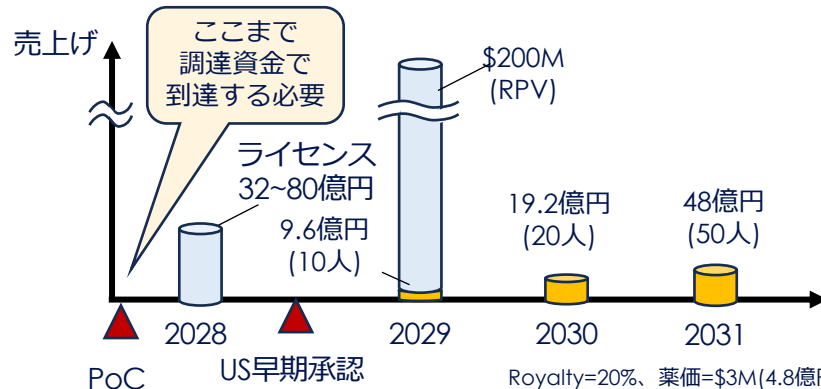
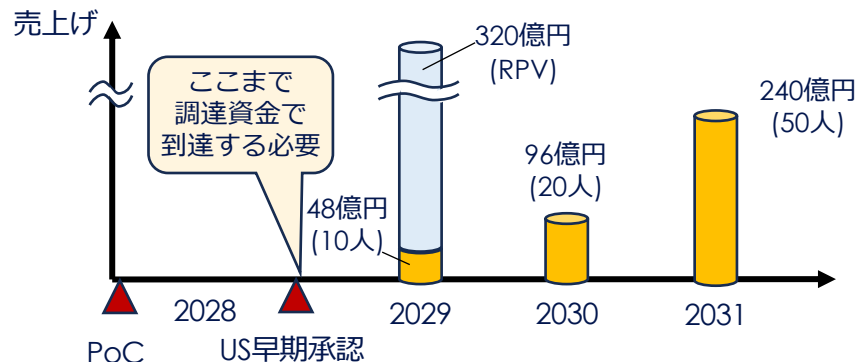
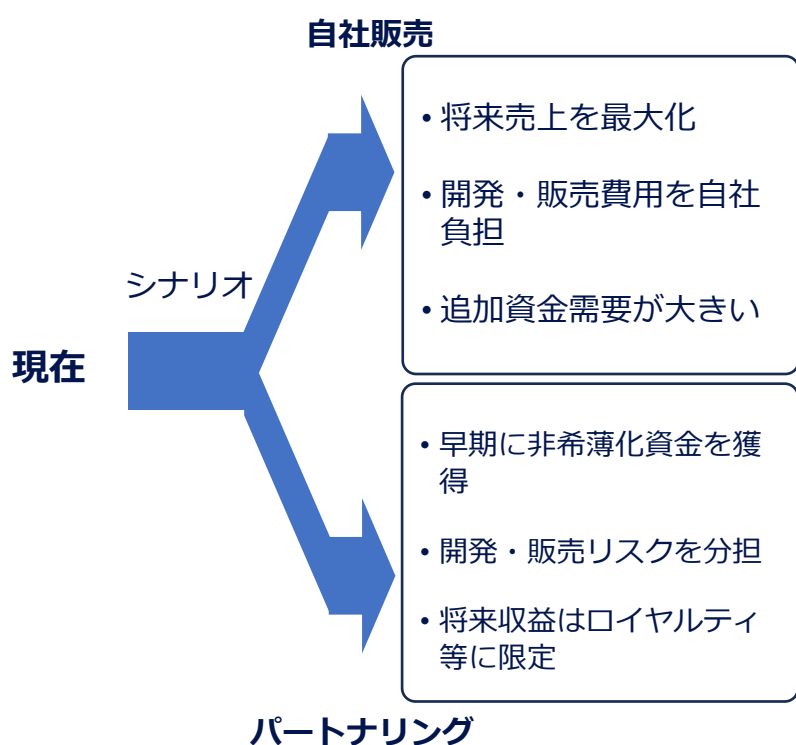


MDL-101におけるプラットフォームの有効性確認は、複数の大規模市場および中枢神経系の適応症におけるリーダーシップの確立に至るまで、当社の次の成長段階を切り拓く機会の入り口の鍵

MDL-101の開発進展に伴う価値創出機会

US製造販売承認後のRPV転売収入の破壊力は大きい

本スライドは一定の仮定に基づくシナリオ例であり、業績予想・収益保証を示すものではありません。



実行中の調達資金はMDL-101のPoC取得に向けた臨床開発を推進し、CRISPR-GNDM®プラットフォーム全体の価値向上を通じて、中長期的な株主価値最大化を目指す



4. まとめ



2026年第2四半期のキーポイント

- 
1. MDL-101の病態モデル試験を完了。生存率の延長、筋肉機能の改善を含む有効性と、その背景にあるBiological dataの取得を完了
 2. サルにおける追加検証を実施。臨床試験に向けての合理性を支持するとともに、INDターゲットの視認性が向上。目標を**2026末～2027年1Q**と設定。
 3. MDL-101の開発および後続プログラムの推進のため第19回新株予約権の設定。進行中。

Modalis Therapeutics



MODALIS

- Based in Greater Boston area
- Pioneering the first CRISPR-based gene modulation technology since 2016
- Leading company in CRISPR epigenetic modulation
- Develops novel precision medicines for genetic disorders that have no cure





5. Q&A



Q1. MDL-101のIND申請時期について、今回なぜ見通しが明確になったとする根拠は何ですか？

MDL-101については、疾患モデルマウスを用いたIND-enabling試験を完了し、薬理学的**有効性**及びその背景となる**生物学的データ**を取得しました。また、NHP追加検証において、筋組織への導入及び**LAMA1発現上昇**を確認し、**臨床移行を支持するデータ**が得られました。さらに、GLP毒性試験の追加試験及びGMP製造を含むIND申請に向けた**実行計画が具体化**したことから、2026年末から2027年1QのIND申請を目標とした開発計画の視認性が高まったと考えています。

Q2. マウスIND-enabling試験の完了は、開発上どのような意味を持ちますか？

疾患モデルマウスにおいて、VCN*、導入遺伝子であるCas9の発現、LAMA1の上昇を核酸及びタンパクレベルで確認しました。さらに、生存率の改善、筋肉機能の回復及びその持続を裏付ける生物学的データを取得しています。これにより、**MDL-101の作用機序と薬理学的有効性**を支持する包括的な非臨床データが得られ、IND申請パッケージの重要な構成要素が整ったと考えています。

*VCN(Vector Copy Number): 細胞当たりの遺伝子導入コピー数。遺伝子導入効率の指標

Q3. 実施したNHP追加検証では何が確認され、なぜ重要なのですか？

複数のCROにおいて**臨床に即した投与プロトコール**下で実施したNHP追加検証では、筋組織へのベクター導入、CRISPR-GNDM®構成要素の発現、及び標的遺伝子であるLAMA1の発現上昇を確認しました。MDL-101は、AAVを用いてGNDMを筋組織へ届け、LAMA1の発現を誘導することが作用機序の中心であるため、NHPでこれらのステップが確認されたことは、臨床移行を支持する重要なデータであると考えています。

Q4. 前処置プロトコルの最適化とは何を意味しますか？以前の試験で問題があったということですか？

前回までの検討を通じて、**ベクター導入や薬効評価に影響し得る要因**が認識されたため、臨床移行に向けたデータの解釈性と再現性を高める目的で、前処置プロトコルの臨床に即した最適化を進めました。今回のNHP追加検証では、最適化後の条件下で筋組織への導入及びLAMA1発現上昇を確認しており、GLP毒性試験の追加試験に進むための対応方針が明確になったと考えています。

Q5. GLP毒性試験の追加試験は、いつ開始し、どのデータがINDに必要なになりますか？

GLP毒性試験の追加試験については、CROを選定し、実施契約の締結を既におこなっております。**2026年3Q内の投与開始**を予定しています。IND申請に向けては、**主に3か月データの取得及び評価**を想定しており、その結果を非臨床データパッケージに組み込む計画です。なお、最終的なIND申請時期は、試験結果、レポート作成、品質関連データ及び当局対応の進捗により変動する可能性があります。

Q6. IND申請に向けた残された主要課題は何ですか？

残された主要課題は、**1)GLP毒性試験の追加試験、2)GMP製造、3)付随する品質試験及び安定性試験、4)IND申請資料の統合、並びに5)治験実施体制の最終整備**です。これらはいずれもIND申請に向けた重要なクリティカルパスですが、現時点では各ワークストリームの実行計画が具体化しており、当社としては**2026年末から2027年1QのIND申請**を目標に、進捗を管理しながら開発を進めています。

Q7. GMP製造はIND申請時期のボトルネックになりますか？

現在、plasmid GMP製造が進行しており、AAV GMP製造についても2026年3Qの開始を予定しています。GMP製造、品質試験及びリリース試験はIND申請に向けた重要な要素であり、CDMOと製造計画を整合しながら進めています。現時点では、**IND申請目標に沿って計画を推進しています。**

Q8. 初回ヒト投与はいつ頃どこで行われることを想定していますか？

当社は最初に**米国**で申請を行う方針です。まずはIND申請及び当局(FDA)によるレビューが前提となります。IND申請後、当局からの照会等に適切に対応し、クリアランス(通常30日)獲得を目指します。同時に進める治験実施医療機関、治験薬供給、プロトコール、患者リクルート体制などの準備が整い次第、**可能な限り速やかに**初回ヒト投与を開始することを目指します。

Q9. 臨床試験では、どのように有効性を確認する予定ですか？

初期臨床試験では、まず**安全性**を主要な評価項目としつつ、LAMA1発現などの**ターゲットエンゲージメント、筋機能、発達指標、呼吸機能、運動機能**などを探索的に評価することを想定しています。また、LAMA2-RDは希少疾患であり、対照群を設定することが難しいため、自然歴データとの比較も重要な評価要素になると考えています。

Q10. MDL-101はどの時点で価値が大きく上がると考えていますか？

重要な価値創出ポイントは、**IND申請、初回ヒト投与、安全性及びターゲットエンゲージメントの確認、さらに臨床PoC**の取得です。特にMDL-101でヒトにおける安全性やLAMA1発現誘導が確認できれば、LAMA2-RDにおける開発価値だけでなく、CRISPR-GNDM[®]プラットフォーム全体の臨床的価値を示す重要なマイルストーンになると考えています。

Q12. MDL-101に集中する中で、他のプログラムはどのように進めますか？

当面は**MDL-101のIND申請及び臨床移行を最優先**します。一方で、MDL-201、MDL-202、MDL-103についても、外部資金、共同研究、パートナーリングを活用しながら、非臨床データの拡充及び候補品確立に向けた取り組みを継続します。MDL-101で臨床的な検証が進むことにより、後続プログラム及びCRISPR-GNDM[®]プラットフォーム全体の価値向上につながると考えています。





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」、「預期する」、「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黙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。
- 本資料のアップデートは原則として1年に1回を行うものとし、毎年3月頃を目途として開示を行う予定です。事業計画に大幅な変更があった場合には不定期に変更を行う場合があります。

- IRウェブサイト

<https://modalistx.com/jp/ir/>

最新の決算短信や決算説明資料、説明会の案内、株主総会関連資料をご用意しております。

- IRメール配信

<https://modalistx.com/jp/ir/mailnews/>

ご登録いただいたメールアドレスに適時開示情報などをタイムリーに配信。個人投資家説明会のご案内などもお知らせいたします。

- お問い合わせ

<https://modalistx.com/jp/contact/>

フェアディスクロージャーの観点から個別の回答はしていませんが、ご質問の内容のうち回答の必要性があると判断されたものは、ウェブサイトや説明会の内容に反映させていただき、回答いたします。