



2026年2月12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 臨床移行に向けた戦略的開発最適化の進展および 開発進捗のアップデートに関するお知らせ

株式会社モダリス（代表取締役 CEO：森田 晴彦、以下「モダリス」）は、開発中の遺伝子治療候補 MDL-101 について、生物学的妥当性の継続的な裏付けと臨床段階移行に向けた戦略的開発進展の一環として、現在進めている開発最適化の取り組みについてお知らせいたします。

1. 生物学的妥当性および非臨床開発の進展

MDL-101 は、疾患モデルマウスを用いた IND enabling 試験において、対照群と比較して明確な生存期間延長効果が確認されており、作用機序および薬理学的有効性は一貫して支持されています。これらの結果は、本治療コンセプトの生物学的妥当性を継続的に裏付けるものです。

現在、臨床段階への移行に向けた開発進展の過程において、開発パラメータのさらなる精緻化および臨床準備状態の最適化を目的とした追加解析を実施しています。なお、現時点において新たな安全性上の懸念は確認されていません。

2. 臨床移行に向けた開発最適化

当社は、長期的な臨床成功確率を最大化する観点から、生物学的および臨床的準備状態の最適化を優先した開発方針を採用しています。現在進めている取り組みは、治療コンセプトそのものではなく、臨床段階への移行における再現性および実行確実性を強化することを目的としたものです。

3. IND 申請タイミングについて

上記の戦略的開発最適化の取り組みに伴い、IND 申請の想定時期については、臨床開発への最適な移行準備を確保する観点から現在見直しを行っています。

4. プラットフォームおよび他パイプラインへの影響

本件は現時点において MDL-101 個別の開発段階における最適化に関するものであり、CRISPR-GNDM®プラットフォーム技術全体や他パイプラインへの影響を示唆するものではありません。現時点では、臨床移行準備の最適化を踏まえ、IND 申請時期は当初想定より後ろ倒しとなる可能性を含めて検討していますが、具体的な時期については現在精査中です。

5. 戦略的パートナーシップの進展

また、当社は MDL-101 の将来的なグローバル展開を見据え、特定地域における臨床開発および商業化に関する戦略的パートナーシップについて第三者との間でタームシートレベルの基本合意に至っています。本取り組みは、外部視点からのプログラム評価を含む戦略的進展の一環であり、グローバル開発実行力および長期的な商業価値の強化を目的としています。詳細については適切な時期に公表予定です。

6. 今後の方針

当社は、あらかじめ設定されたスケジュールの遵守よりも、生物学的および臨床的準備状態の最適化を優先する開発哲学のもと、

- 追加解析の完了
- 開発計画の最適化
- 規制当局との継続的対話

を進め、長期的な臨床成功率およびプログラム価値の最大化を目指します。

7. 業績への影響

現時点では業績予想への影響について精査中であり、開示すべき事項が生じた場合には速やかに公表いたします。

当社としては、今回の最適化は現在得られているデータは生物学的妥当性や治療コンセプトの成立性に関する本質的な制約を示唆するものではなく、臨床段階への移行準備をより確実なものとするための開発最適化の一環であると認識しています。

株式会社モダリスについて

株式会社モダリスは2016年設立、米国マサチューセッツ州に研究開発拠点をもち、CRISPRを用いたエピゲノム編集技術による治療薬開発のリーディングカンパニーです。当社の拡張性の高いプラットフォーム技術をもとに、筋肉疾患、CNS疾患および心筋症等、深刻な遺伝子疾患に苦しむ患者さんのための治療薬を開発しています。詳細については、当社のホームページをご覧ください。(www.modalistx.com/jp/)

以上