



2025 年 8 月 14 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)

Dux4 遺伝子を標的とした FSHD 治療に関する日本特許成立のお知らせ

株式会社モダリス（本社：東京都、代表取締役 CEO：森田 晴彦、以下「当社」）は、このたび、当社が出願していた特許「DUX4 遺伝子を標的とした顔面肩甲上腕型筋ジストロフィーの治療方法（特願 2023-513722）」が、日本特許商標庁（JPTO）により特許として認められたことをお知らせいたします。

本特許は、当社が開発した CRISPR-GNDM®エピゲノム編集技術を用い、DUX4 遺伝子を標的とする新規筋ジストロフィー治療法に関するものであり、発明者は山形哲也博士、Yuanbo Qin 博士を含む当社研究開発チームです。

顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー（FSHD）は、筋ジストロフィーの中で世界第 3 位の患者数を有する遺伝性疾患で、推定患者数は世界で約 100 万人、米国で約 38,000 人とされています。本疾患は顔面、肩甲骨、上腕の筋萎縮を特徴とし、進行性であるため、患者の約 20%が 50 歳までに車椅子を必要とします。現時点で、FSHD の根本原因に対処する有効な治療法は存在していません。

当社が開発中の MDL-103 は、二本鎖 DNA を切断せず、FSHD の原因遺伝子である DUX4 の発現を筋肉選択的かつ持続的に抑制することを可能にする独自の CRISPR-GNDM®技術を用いており、筋機能の改善が期待されます。今回成立した特許は、DUX4 遺伝子およびそのタンパク質の発現を抑制することにより、FSHD 治療に有効な遺伝子治療薬をカバーしています。

本プログラムは、SolveFSHD 財団および XPRIZE 財団からの助成を受けて開発を進めており、今回の特許成立により、日本国内における当社製品の知的財産保護が確立されました。

当社は今後も、FSHD をはじめとするアンメット・メディカル・ニーズの高い疾患領域において、革新的な遺伝子治療の研究開発を推進してまいります。

以上

エピゲノム編集：DNA やヒストンのメチル化などを制御することにより、遺伝子配列はそのままの状態、遺伝子のオン・オフを転写レベルで制御すること。