



2026年4月28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)

DM1 および FSHD 治療薬候補、前臨床で強力な標的遺伝子抑制を確認
— 次世代 CRISPR 技術によりベストインクラスの可能性、ASGCT で発表 —

当社は、開発中の筋強直性ジストロフィー1型 (DM1) 治療薬 MDL-202 および顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー (FSHD) 治療薬 MDL-103 について、前臨床試験において強力かつ持続的な標的遺伝子抑制効果を確認しました。本成果を、2026年5月11日から15日に米国ボストンで開催される第29回米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT: The American Society of Gene & Cell Therapy[®]) 年次学会にて発表いたします。

本研究成果は、当社独自の CRISPR-GNDM[®]技術を用い、二本鎖 DNA を切断することなく疾患原因遺伝子の発現を制御することで、従来の遺伝子治療アプローチと比較して高い安全性と有効性を両立する可能性を示すものです。

発表の概要

1. MDL-202 (対象疾患: DM1)

DM1 は成人で最も頻度の高い筋ジストロフィー症で、筋硬直および筋委縮を特徴とする疾患です。その発症メカニズムは、DMPK 遺伝子の3'側非翻訳領域にあるCTG 繰り返し配列 (リピート) の異常伸長が原因で、その転写産物である mRNA が、リピート領域にスプライシングに関与する MBNL1 などのタンパク質をトラップすることにより、筋肉細胞において正常なスプライシングを阻害するとされています。当社が開発中の MDL-202 は、独自の CRISPR-GNDM[®]技術を用い、二本鎖 DNA を切断することなく、DM1 の原因遺伝子 DMPK の発現を筋肉選択的かつ持続的に抑制することにより、筋機能の改善が期待されます。

今回の発表では、共同研究パートナーである Affinia Therapeutics 社が開発した筋指向性キャプシド (ATC-187) に搭載した「次世代型 MDL-202」の最新データを公表します。次世代型 MDL-202 は、マウスへの全身投与により、極めて優れた DMPK 遺伝子の抑制効果を実現しており、既存の治療薬候補を凌駕するベスト・イン・クラスの治療薬になる可能性を示しています。

2. MDL-103 (対象疾患: FSHD)

FSHD は、筋ジストロフィーの中で3番目に患者数が多い遺伝子疾患で、世界で約100万人、米国だけでも約38,000人が罹患していると推定されています。本疾患は顔面、肩甲骨、上腕の筋肉の萎縮を特徴とし、進行性であることから、患者の約20%が50歳までに車椅子生活を余儀なくされます。現在のところ、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、独自の CRISPR-GNDM[®]技術を用い、二本鎖 DNA を切断することなく、FSHD の原因遺伝子 Dux4 の発現を筋肉選択的かつ持続的に抑制することにより、筋機能の改善が期待されます。

本学会では、University of Massachusetts が開発した、FSHD 患者由来の筋肉細胞を移植した「Xenograft 疾患モデルマウス」による薬効および安全性の評価結果を発表します。MDL-103 は同モデルにおいて、低用量で Dux4 標的遺伝子の顕著な抑制を実現しており、FSHD 治療におけるベスト・イン・クラスの治療薬になる可能性を示しています。

当社の発表一覧は以下の通りです。

ポスター発表 ID 1492: [Pairing AAV genome and capsid engineering of an epigenetic-editing modality to develop a best-in-class treatment for Myotonic Dystrophy Type 1 \(DM1\)](#)

発表者: Keith Connolly, PhD

日時: 2026年5月12日 5:00-6:30 PM EST

セッション名: Welcome and Poster Reception

ポスター発表 ID 2314: [Epigenetic suppression of Dux4 using CRISPR-GNDM technology as a therapeutic for FSHD](#)

発表者: Alec M DeSimone, PhD

日時: 2026年5月13日 5:00-6:30 PM EST

セッション名: Poster Reception

注) 第29回 米国遺伝子細胞治療学会 (ASGCT) について

米国遺伝子細胞治療学会は、世界最大級の遺伝子細胞治療の国際学会です。年次会は毎年5月に米国で開催され、世界中から研究者、医師、企業、規制当局が集まり、基礎研究から臨床応用、規制動向まで幅広い内容の発表が予定されています。近年では遺伝性疾患やがん治療における改良型 CRISPR 技術を用いた最先端の遺伝子治療に大きな注目が集まっており、多くのセッションで発表が予定されています。CRISPR 研究の最前線が集まる場として、世界的に重要なプラットフォームとなっています。

以上