



2026 年 5 月 20 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)

個人投資家向け会社説明会の開催のご報告及び使用資料の公開について

株式会社モダリス（所在地：東京都中央区、代表取締役 CEO：森田 晴彦）は、2026 年 5 月 19 日（火）に、個人投資家を対象としたオンライン会社説明会を開催いたしました。

説明会では、代表取締役 CEO の森田晴彦より、当社の事業概要、開発状況、今後の事業戦略、財務戦略についてについてご説明いたしました。

説明会における資料は、次ページ以降に添付しております。

また、説明会の模様は SBI 証券株式会社様のホームページからオンデマンド配信されておりますので、併せてご覧ください。

- 日時：2026 年 5 月 19 日（火）19：45 ～ 20：30
- 講演者：株式会社モダリス 代表取締役 CEO 森田 晴彦
- 説明会運営会社：株式会社 SBI 証券
- 説明会動画：[株式会社 SBI 証券ホームページ掲載動画](#)
(SBI 証券ホームページ上の動画に移動いたします。)
：[株式会社 SBI 証券公式 YouTube チャンネル掲載動画](#)
(株式会社 SBI 証券公式 YouTube チャンネル上の動画に移動いたします。)

なお、説明会において時間の都合上でお答えしきれなかった質問につきましては、後日、弊社ホームページ内の FAQ ページにて、回答を掲載する予定です。

(FAQ | 株式会社モダリス：<https://modalistx.com/jp/ir/faq/>)

引き続きご支援をよろしくお願い申し上げます。

以 上

2026年12月期 第1四半期 決算説明会

The switch



is the Key

株式会社モダリス
(証券コード：4883)
2026年5月19日



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」、「予測する」、「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暗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。

Modalis について



MODALIS Therapeutics

ミッション: 全ての命に光を

- 希少疾患治療を目的としたエピゲノム編集による遺伝子治療薬を開発するバイオテック企業
- 設立 2016
- 上場 2020 (グロース)
- 本社：東京
- R&D：マサチューセッツ州ウォルサム市



会社概要（2026年3月末）

Modalis Therapeutics は CRISPR 技術をベースに設立された遺伝子治療ベンチャー

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ディング2 7F
米国法人	Modalis Therapeutics Inc. (43 Foundry Avenue, Waltham, Massachusetts)
事業概要	CRISPR技術を用いた医薬品開発、 プラットフォーム技術提供
資本金	1,728 百万円
発行済株式数	92,354,098株
従業員数	21名（連結、うちPh.D. 8名） （〔国内〕 5名〔海外〕 16名）



年月	沿革
2016年 1 月	東京都中央区にエディジーン株式会社（現 株式会社モダリス）を設立
2016年 4 月	米国マサチューセッツ州ケンブリッジ市に連結子会社EdiGENE Inc.（現 Modalis Therapeutics Inc.）を設立
2019年 8 月	商号を株式会社モダリス（英語表記：Modalis Therapeutics Corporation）へ変更 同時に米国子会社EdiGENE Inc.の社名をModalis Therapeutics Inc.へ変更
2020年 4 月	Editas Medicine, Inc.との間でCRISPR/Cas9特許の非独占的実施の許諾を受けるライセンス契約を締結
2020年 8 月	東京証券取引所マザーズ市場へ上場（証券コード: 4883）
2021年10月	米国子会社を米国マサチューセッツ州ウォルサム市内へ移転・拡張
2022年 4 月	東京証券取引所の市場再編区分に伴い、マザーズ市場からグロース市場へ移行

エピゲノム

遺伝子が、いつ、どこで、どれだけ読み出されるかを決定づけ、細胞やその機能などの多様性をつくり出す仕組み

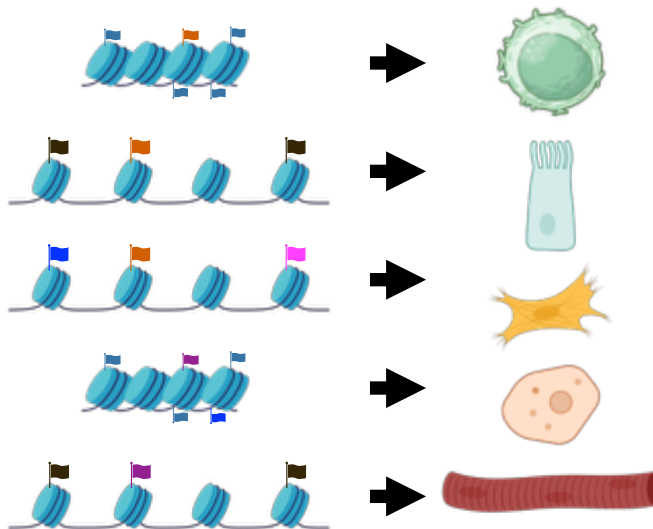


37兆個の細胞

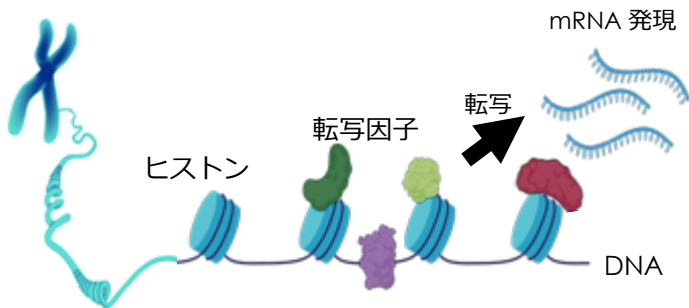
2万の遺伝子
200種類の細胞
100を超える臓器

でもたった1セットの
設計図

細胞の多様性もエピゲノムで支配されている



DNAからRNAが読み出される仕組み



エピゲノムは
あたかもオーケストラの指揮者のように、
遺伝子の発現を調節している
だが、もしその調整が破綻したら...

CRISPR-GNDM®

GNDMはエピゲノムを書き換えて、目的の遺伝子の発現量制御を行う

ガイドRNA=ポインター



ガイド

核酸

誘導

遺伝子制御

CRISPR-GNDM® (Guide Nucleotide-Directed Modulation)

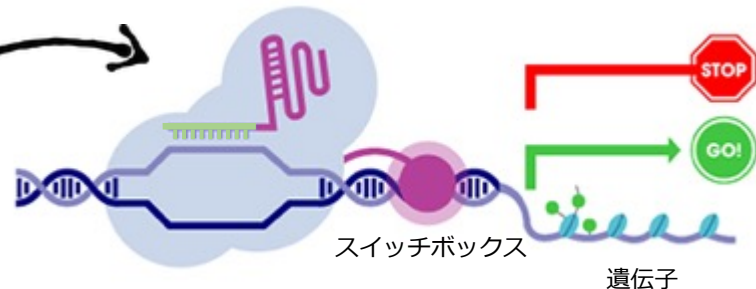
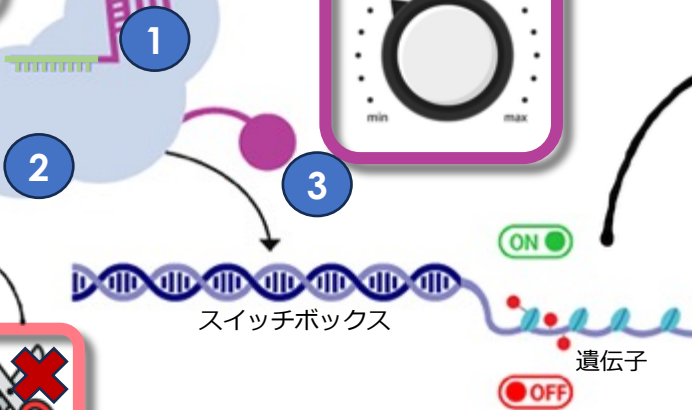
エピゲノムエディター



dCas9=バインダー



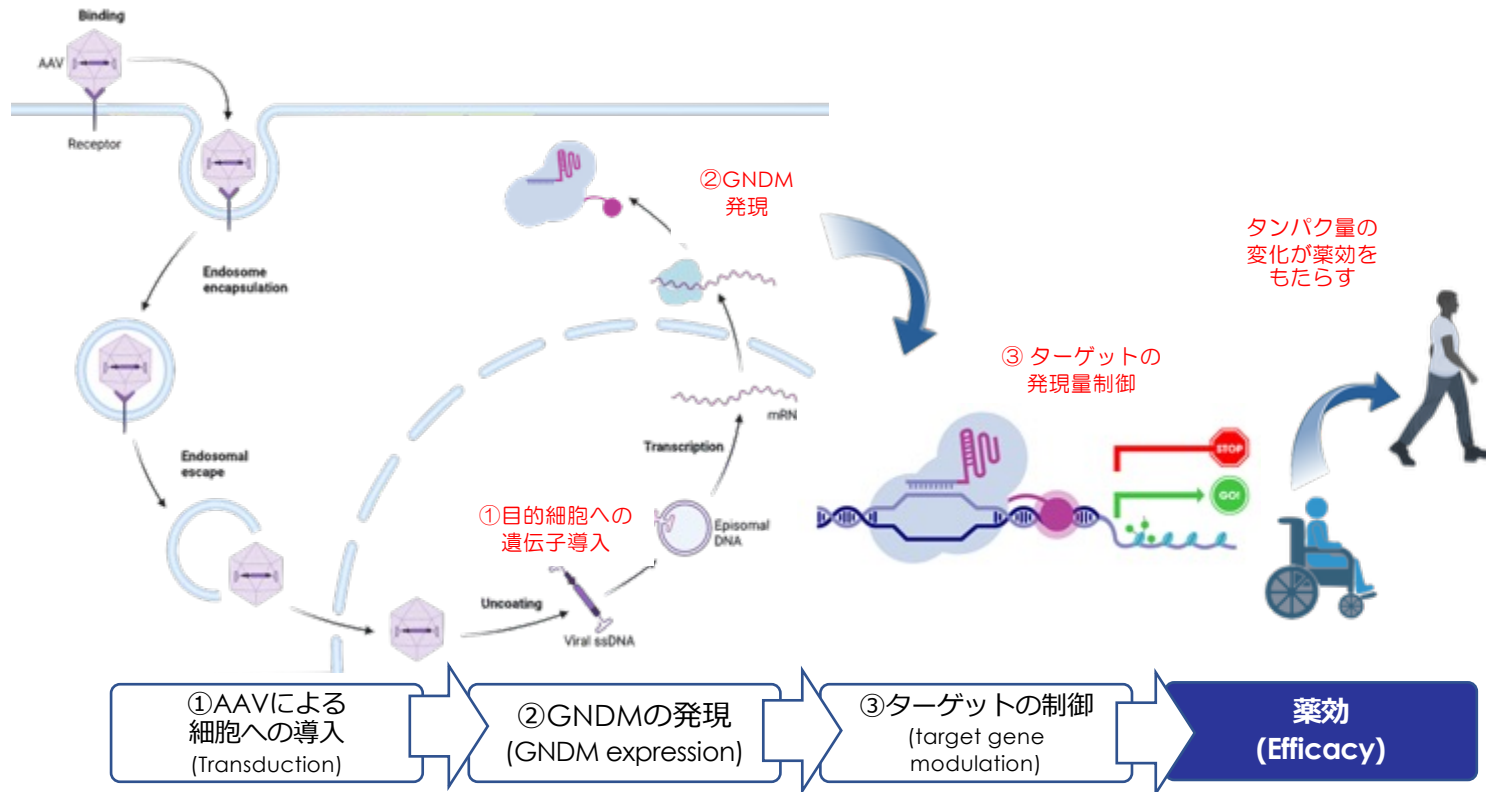
Cas9=カッター



CRISPR-GNDM® は①位置決めをする「ガイドRNA(gRNA)」、②DNAへの結合デバイスである「dCas9」、③エピゲノムの編集を行う「エディター」で構成され、遺伝子の発現のオン・オフを自由に制御する

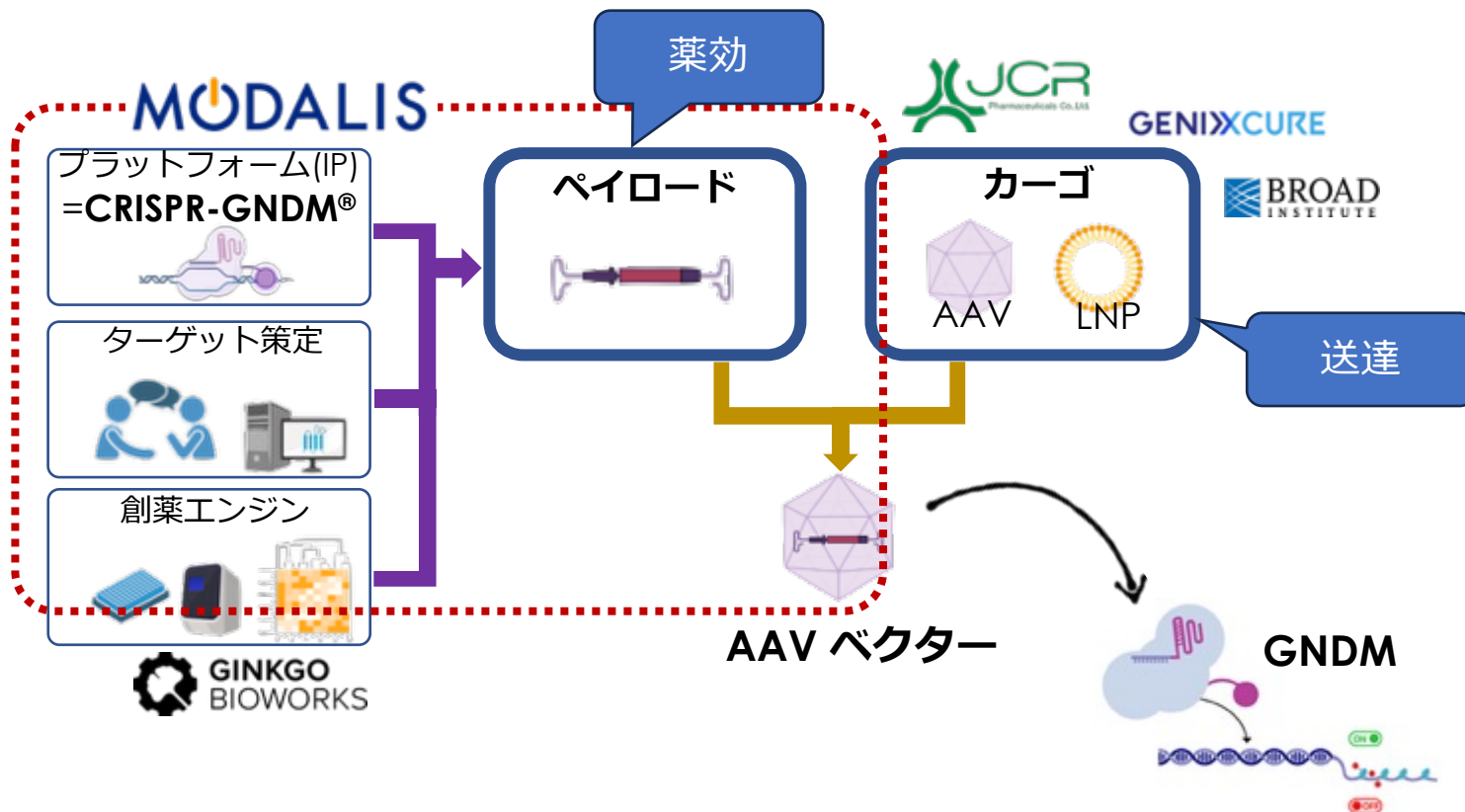
薬剤投与から薬効までの3段階

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



モダリスのコアコンピタンスと協業の状況

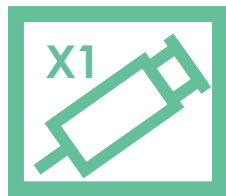
遺伝子治療のためには薬効の本体であるペイロードとそれを目的組織に運ぶカーゴ(ベクター)が重要



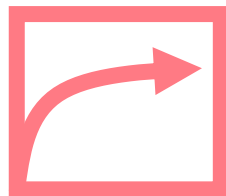
CRISPR-GNDM® は新しい治療コンセプトとして期待される技術

1回の投与で病態改善効果が持続

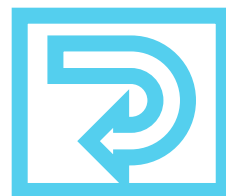
CRISPR-GNDM® 技術のもたらしうる効果



単回投与
反復投与を
必要としない



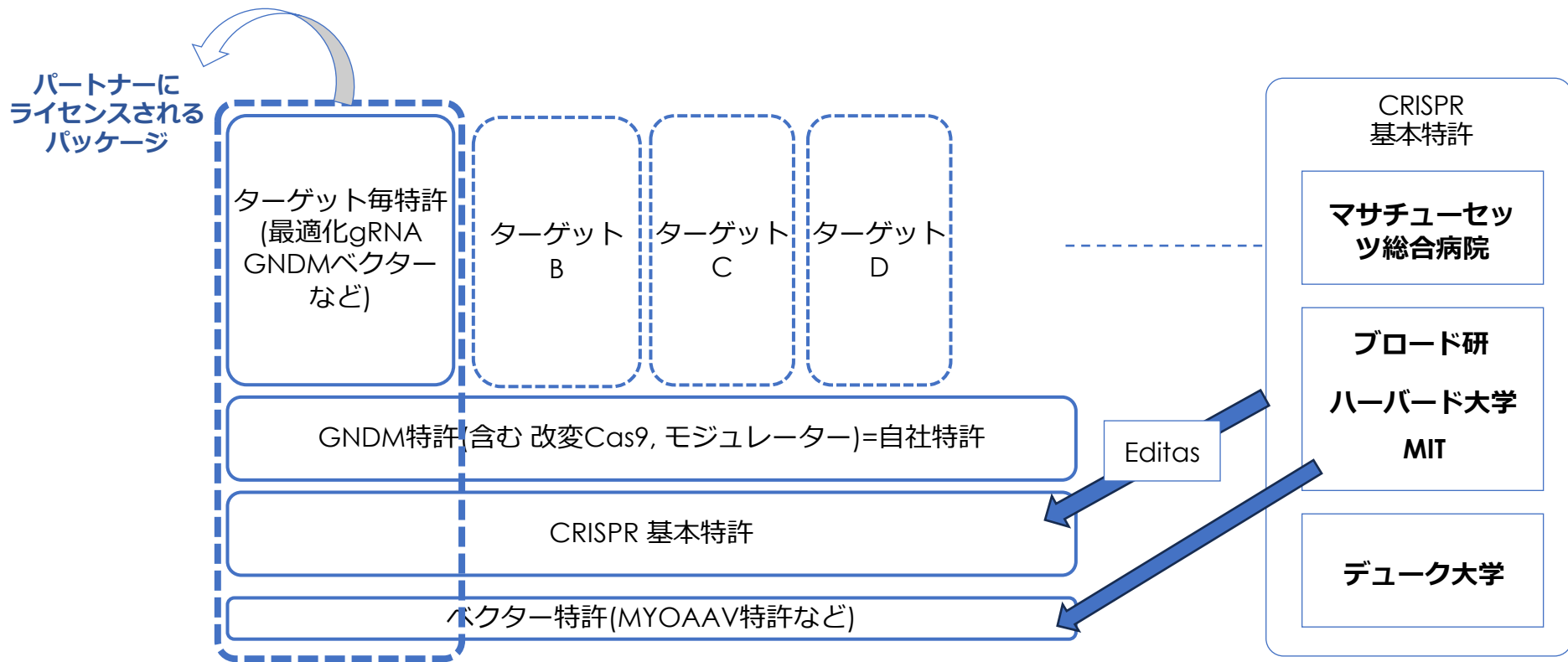
効果が持続
数年あるいは数十年
に渡って効果が持続



病態を改善
対症療法ではなく
治療を目指す

知財構成

それぞれのプロダクトは複数レイヤーの特許によって守られる



経営陣紹介

経験豊富な取締役によるガバナンス体制

執行役員

森田 晴彦 代表取締役CEO

- ・ レグイミュン(理研ベンチャー) 元代表取締役兼CEO, ワイズセラピューティックス(東大ベンチャー), ブーズ・アレン・アンド・ハミルトン (現 PwC Strategy &), キリンビール (現 協和キリン)

山形 哲也 MD PhD: Chief Scientific Officer

- ・ グラクソ・スミスクライン, テンベロファーマシューティカルズ

中島 陽介 MBA: VP, Operations and Business Development

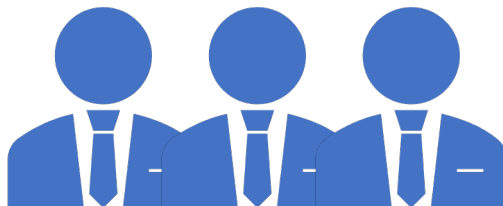
- ・ 住友化学

Yuanbo Qin PhD : VP, Neuromuscular Diseases

- ・ イェール大学、ハーバード医科大学

Seth Levy PhD : VP, Manufacturing

- ・ Sanofi/Genzyme, Brammer Bio/ThermoFisher Scientific



取締役

森田 晴彦 代表取締役CEO

竹田 英樹 社外取締役

- ・ Medical Patent Research 代表取締役(現任)
- ・ 日本網膜研究所 (現 ヘリオス) (理研ベンチャー) 前代表取締役, 藤沢薬品工業(現 アステラス製薬)

Joseph S. McCracken DVM社外取締役

- ・ Roche グローバル・ライセンス ヘッド, Genentech, Sanofi-Aventis

田島 照久 公認会計士 社外取締役 (監査等委員)

- ・ 田島公認会計士事務所 代表(現任), 中央監査法人
- ・ 社外監査役・監査等委員 (オンコセラピー・サイエンス、PRISM他)

古田 利雄 弁護士社外取締役 (監査等委員)

- ・ クレア法律事務所 代表社員(現任)
- ・ 監査役・監査等委員 (ネットイヤーグループ、キャンパス、ゼンリンデータコム他)

中村 栄作 社外取締役 (監査等委員)

社外取締役・監査等委員 (デウェスタンセラピューティクス、ソレイジア・ファーマ、ルカ・サイエンス)
丸紅、バイオサイトキャピタル、アクティバスファーマ

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



目次

1. 2026年1Qのトピック
2. 決算状況およびファイナンスについて
3. 成長戦略
4. まとめ
5. Q&A

1. 2026年第1四半期のトピック

01

MDL-101の開発状況と今後の見通しについて

02

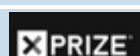
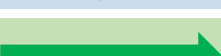
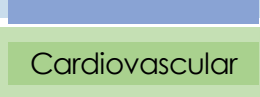
その他のプログラムの開発状況

03

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にフォーカスして開発

Code	疾患名 /疾患領域	モード	所有権	初期開発/前臨床			臨床試験	
				探索／研究	リード 最適化	IND Enabling	前期臨床	ピボタル
MDL-101	LAMA2-CMD*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	Tauopathy	 OFF	Modalis					
MDL-206	Angelman Syndrome	 ON	Modalis					
MDL-207	Dravet Syndrome	 ON	Modalis					

*1: LAMA2-related congenital muscular 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: Duchene 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

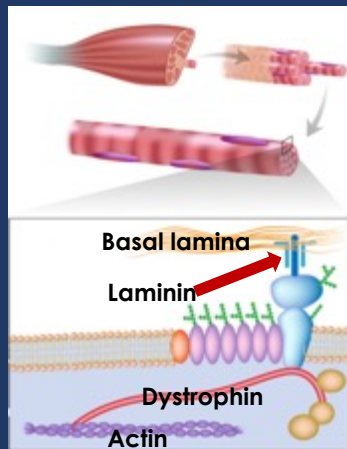
*5: Dilated Cardiomyopathy 拡張型心筋症

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
ファーストインクラスの治
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



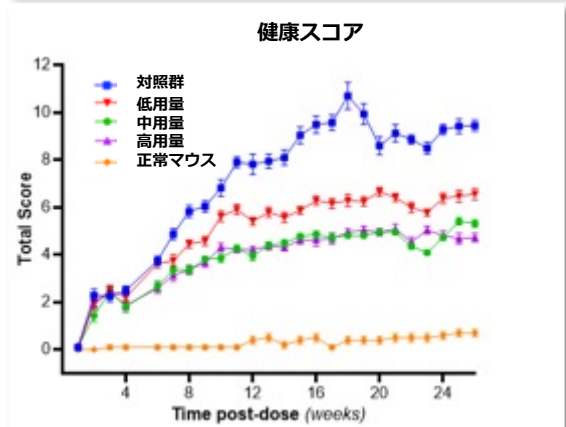
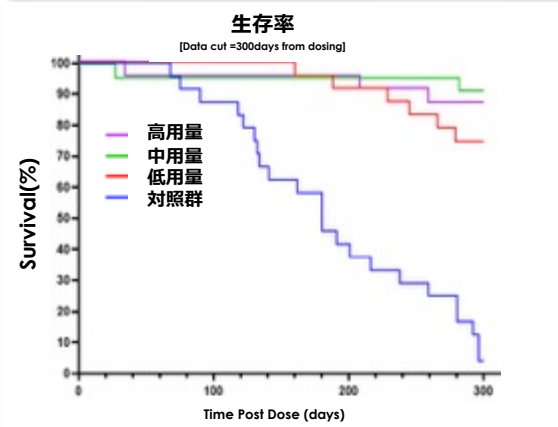
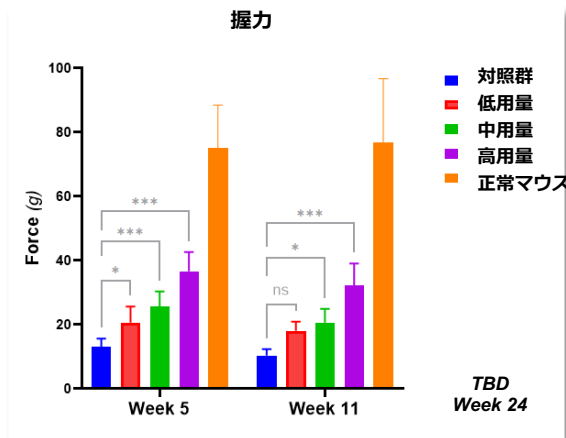
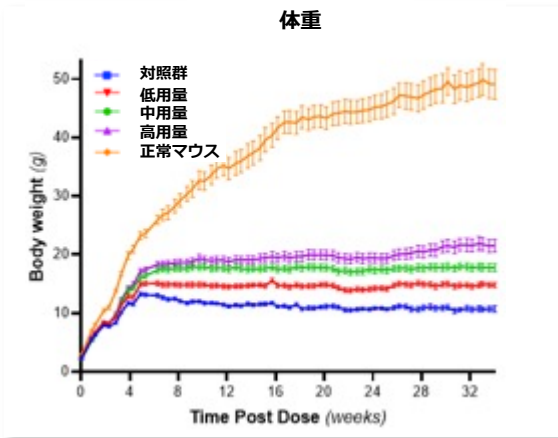
Source: *Estimating the Prevalence of LAMA2 Congenital Muscular Dystrophy using Population Genetic Databases (2023)



Updated

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

mMDL-101投与によってLAMA2-RDの病態は著しく改善した



Mouse Health Deficit Assessment - Overview

(9-parameter, 3 points scale)

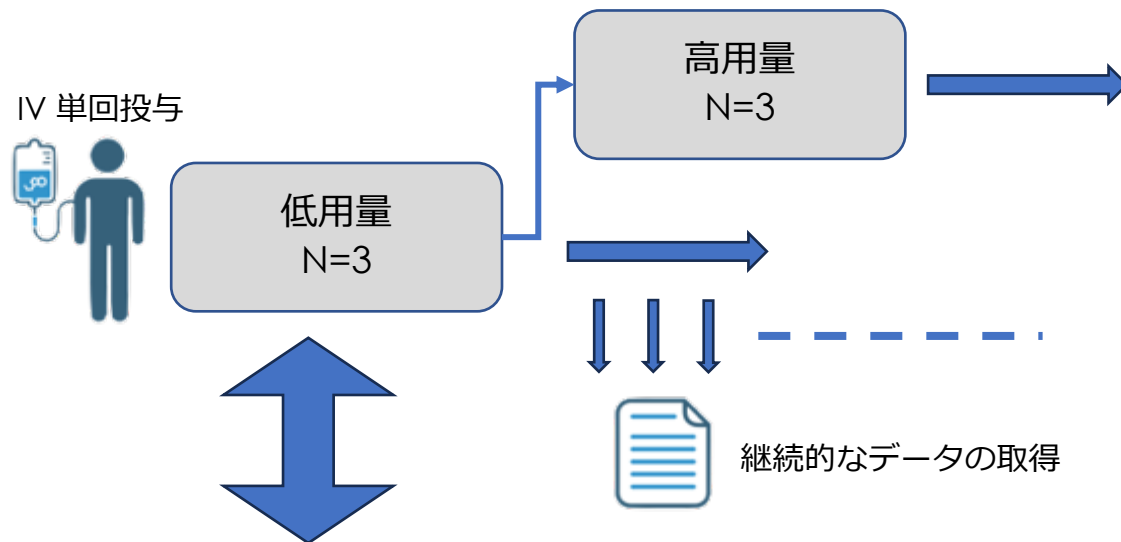
		Score			
	Parameter	0	1	2	3
1	Activity	Normal	Mild deficit	Deficit	Severe deficit
2	Provoked behavior				
3	Locomotion				
4	Respiration				
5	Posture	Mild deficit	Deficit	Severe deficit	
6	Body condition				
7	Fur and skin				
8	Eyes				
9	Tumors & infections	Deficit	Severe deficit		

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

- 36ヶ月齢あるいはそれ以下の患者(男女)
- 病態およびLama2遺伝子の変異 and/or 筋肉におけるLAMA2 タンパク量の顕著な低下
- 治療上における安定期
- 自律的歩行や座位が困難



Natural History Study(自然経過観察)との比較
(NCT06354790, NCT04299321, NCT06132750)

INDに向けた試験の進捗状況

MDL-101開発アップデート

- GLP毒性試験

- GLP毒性試験は進行中であり、現在、長期的な臨床成功確率の最大化に向けた追加解析および最適化検討を実施中。現時点において新たな重大な安全性シグナルは認識されていない。

- マウスIND enabling

- 試験は順調に進捗。継続解析においてコントロール群に対して顕著な生存回復効果と機能回復効果を病態モデルで示しており、本四半期中に問題無く終了する見通し。

- 製造

- AAV治験薬GMP製造活動進行中。

- 治験準備

- 治験サイトおよびPI選定中。
- 各種評価試験の準備中
- 臨床移行成功確率最大化に向けて開発タイムラインを再評価中



現在重点的に進めている項目

臨床移行に向けた"ラストワンマイル"

✓ 製造・品質評価の強化

- ・ 将来的な臨床開発および製品化を見据えた、製造プロセス・品質評価系の最適化

✓ 長期発現プロファイル解析

- ・ ターゲット組織における発現持続性および長期的薬効の詳細評価

✓ 投与戦略最適化

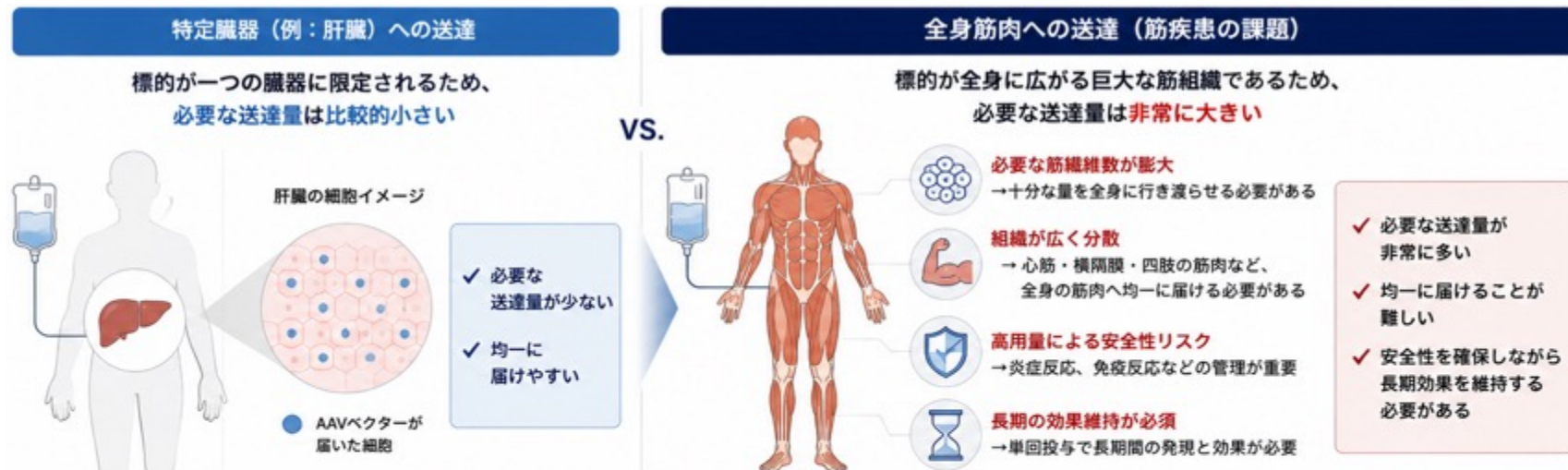
- ・ 臨床試験を見据えた投与条件や免疫抑制プロトコルの最適化

✓ 臨床移行準備

- ・ 治験実施施設との評価指標・測定タイミングの調整、および臨床試験オペレーション体制の構築

なぜ開発に時間がかかるのか？

特に筋肉疾患では「全身送達・長期発現・安全性の両立」が必要であり、高度な技術検証と最適化に時間を要する



このため、開発にはより**高度な技術・検証・最適化**が必要となり、時間を要します

特に筋疾患治療で
必要な技術要素



全身の筋肉へ
十分に届ける送達力
(高効率・広範囲分布)



単回投与での
長期発現の安定性
(持続的な薬効)



高用量でも安全性を
確保する設計
(免疫・炎症管理)



効果を適切に測定・
評価する体制
(バイオマーカー・評価指標)



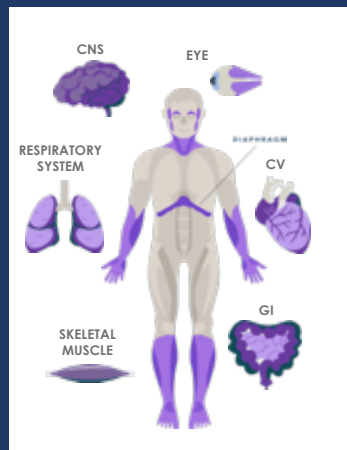
当社は、単なる“早期IND申請”ではなく、長期的な成功確率と製品価値最大化を重視した開発を進めています

筋強直性ジストロフィー1型 (DM1)

DMPK遺伝子の3'非翻訳領域にあるリピート配列の伸張

MDL-202

ファーストインクラスとなり得る治療



罹患率	1万人に約1~4.8人 (2300人に1人*)	DMは、ヨーロッパ系の成人において最も一般的な筋ジストロフィーである。
発症	患者により症状の重篤度や発症年齢は様々	発症年齢は 20~70歳 （典型的な発症は 40歳以降 ）
病態	筋力低下と萎縮、筋緊張症	DMは随意筋の筋力低下を引き起こすが、筋力低下の程度や最も影響を受ける筋肉は、DMの種類や障害者の年齢によって大きく異なる。
原因	DMPK 遺伝子の3'側 非翻訳領域の CTG 反復配列 が異常伸長	CTGリピートの伸張によりMBNL1タンパクが捕捉され、正常なスプライシングができなくなる
市場規模	\$2.2B# 2032年時予測	治療薬のない2022年時点で\$80M であるが、新薬の開発と共に成長が期待されている

*Source: Myotonic Disease Foundation

DelveInsight (DM1 とDM2の両方を含む数字)

DM1の分子病態メカニズムと治療戦略

異常伸長したCUGリピートがDMPK遺伝子の機能を阻害し、筋肉の異常を引き起こす

DM1とは？

19番染色体のDMPK遺伝子にあるCUGリピートの異常伸長により、DM1（筋強直性ジストロフィー-1）が引き起こされる

何が起きているのか？

リピートの伸長により、DMPK遺伝子から作られるRNAに異常構造が形成され、MBNLタンパク質がスプライシングタンパク質としての機能を失う
→ 筋肉をはじめとするさまざまな臓器で機能異常が生じる

CUGリピートの長さと疾患の重症度（例）

50-150

軽度の
1型糖尿病など
と関連

50-1000

古典的なDM1
(成人発症型)
と関連

>800

「小児発症型」
1型糖尿病など
と関連

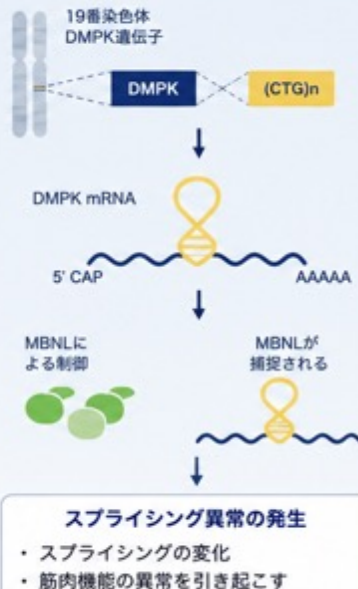
>1000

「先天性」DM1
と関連

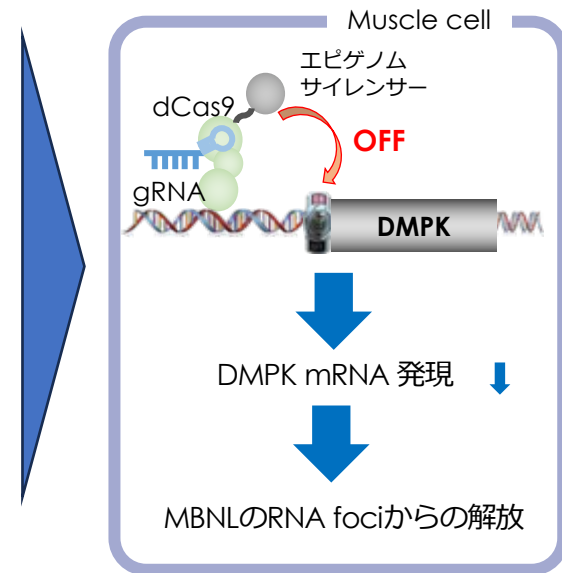
この変異がもたらすこと

DM5K遺伝子で作る異常なRNAがMBNLタンパク質を捕捉し、MBNLの機能が低下
→ スプライシングの異常が広範囲に起こり、筋肉機能の異常を引き起こす

DM1の分子病態メカニズム（イメージ）



CRISPR-GNDM®によるDM1治療メカニズム



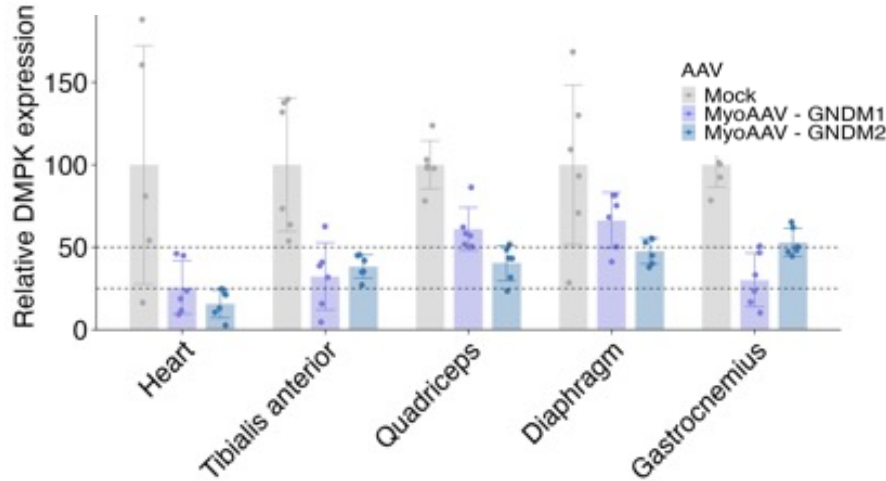
DM1の根本原因にアプローチし、スプライシング異常を正常化することで、筋機能の改善を目指します



心筋・横隔膜を含む複数筋組織でベンチマークを上回る抑制

GNDMはあらゆる筋肉組織で報告されているベクター化miRNAを凌ぐDMPK抑制効果を示した

MyoAAV - GNDM によるDMPK mRNA抑制効果



8 wks dosing at 1e14 vg/kg to DMSXL mouse model (n=6)
8 wks post-injection harvest

なぜこの知見が重要と考えられるか?

✓ 疾患関連組織における強力な抑制

DM1の病態において重要な組織である心臓および横隔膜において、高いDMPK抑制が観察された

✓ 広範な筋肉への分布

複数の骨格筋群にわたって抑制が観察された

✓ 他の単回投与アプローチに対する潜在的な優位性

複数の筋組織において、これまでに報告されているベクター化RNAベースのアプローチと比較して、より強力なDMPK抑制が実証された

✓ 変異に依存しないアプローチ

リピート長に関わらず、幅広いDM1患者への適用可能性

✓ カプシドとGNDMの相乗効果

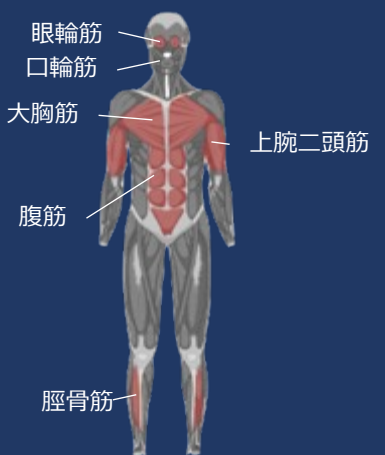
結果は、筋特異的カプシド送達とCRISPR-GNDM®による制御の組み合わせを裏付けている

DMPK抑制率(%)	心臓	横隔膜	大腿四頭筋	前脛骨筋	腓腹筋
GNDM2-MyoAAV	87%	52%	60%	63%	49%
Sanofi '268	~76%	~32%	~25%	~40%	~35%

ベクター化
siRNAによる
ベンチマーク

顔面肩甲上腕型筋ジストロフィー(FSHD)

Dux4遺伝子を原因とする神経変性疾患

MDL-103 傷害性のあるDux4遺伝子産物の発現を抑制することでファーストインクラスとなり得る治療 	罹患率	約1万-2万人に約1人	成人で最も頻度の高い筋ジストロフィー
	発症	20代まで認識されないことが多く、青年期に悪化する傾向	成人発症型と小児発症型に分ける専門家もいる。成人発症型の方がはるかに一般的である。
	病態	顔面（目&口）、肩、上腕、手首、下腹部等の筋力低下	顔面、肩、腕と病態は進行一般的に病態の進行は遅い 非対称（アンバランス）な筋力低下の症状が見られる 筋力低下の範囲が広がることもある 視力障害、血管異常、聴覚障害など
	原因	DUX4遺伝子の過剰発現	常染色体優勢遺伝, FSHD1 (95%)、2 (5%), DUX4は本来生殖細胞で発現、体細胞では抑制
	市場規模	\$500M以上 2022年	

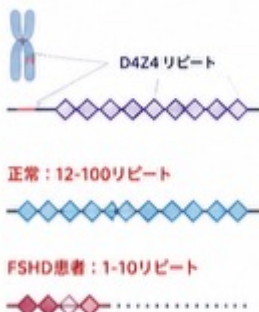
Source: <https://doi.org/10.1212/WNL.00000000000011425> Orphanet, Raymond A. Huml MD A concise guide

FSHDの病態メカニズム

Dux4遺伝子の異常な発現が、筋細胞の機能障害と筋萎縮を引き起こす

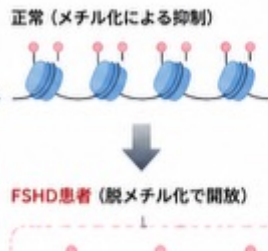
① 遺伝的背景

4q35領域のD4Z4リピートが縮小 (11リピート以下)



② エピジェネティックな解除 (クロマチンの開放)

リピート縮小により抑制的なエピジェネティック状態が低下



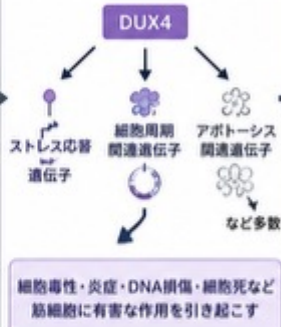
③ DUX4遺伝子の異常発現

開放されたD4Z4リピートからDUX4 mRNAが転写・翻訳される



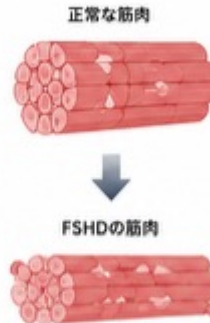
④ 下流遺伝子の異常活性化

DUX4が多数の標的遺伝子を異常に活性化



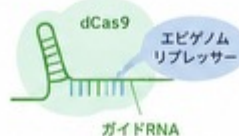
⑤ 病態の結果

筋細胞の機能障害と脱落が進行し、筋萎縮・筋力低下が起こる

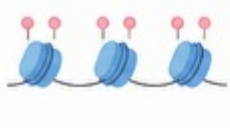


治療コンセプト：DUX4の発現を抑制する

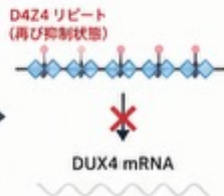
CRISPR-GNDM®によるエpiゲノム編集 (サイレンシング)



D4Z4領域のクロマチンを再び抑制状態に戻す



DUX4の発現を抑制



病態の進行を抑制・改善

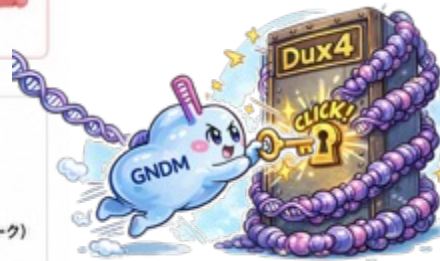
- ✓ 筋細胞の保護
- ✓ 炎症・細胞毒性の低減
- ✓ 筋機能の維持・改善が期待される



凡例

- ナクロソーム (クロマチン)
- メチル基 (抑制マーク)
- ◇ D4Z4リピート配列
- DUX4タンパク質

作用機序
II
Dux4を
封印する

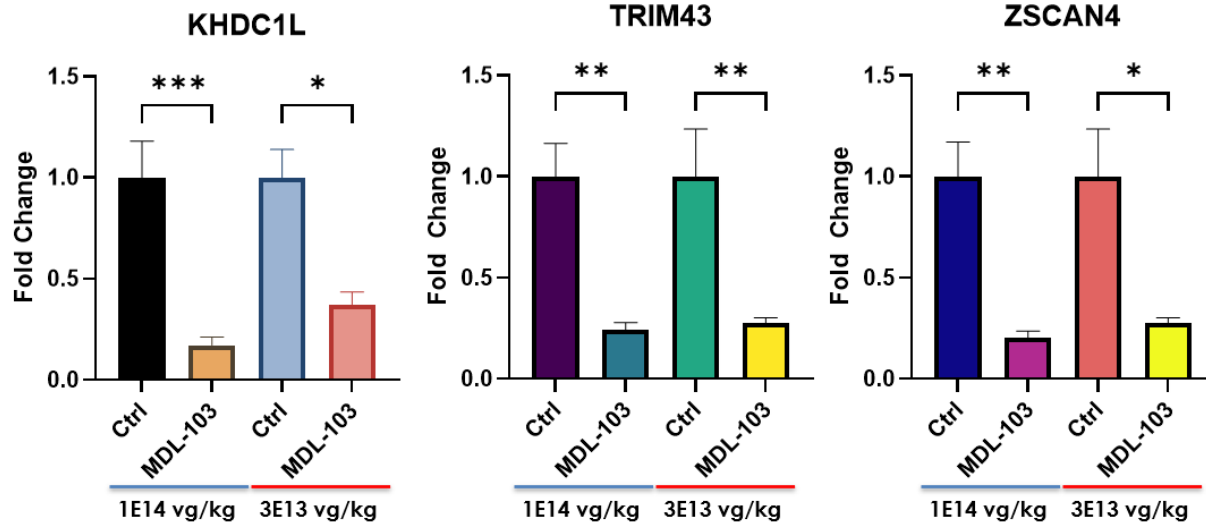
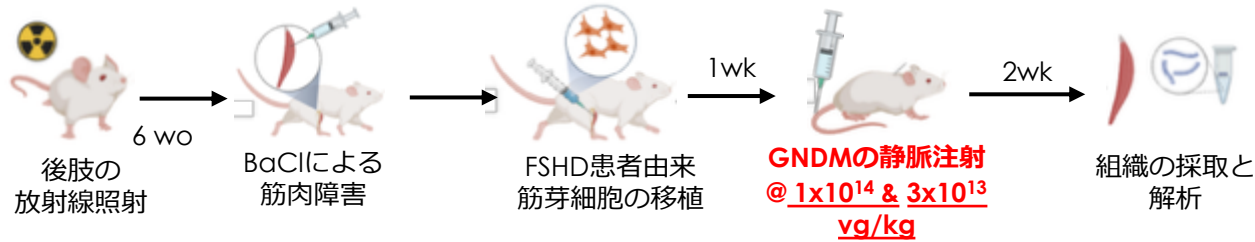


※本図は研究報告等をもとに作成した模式図であり、実際の分子機構をすべて示すものではありません。



疾患モデルでの作用

3e14vg/kgのMDL-103を全身投与することで、Dux4の下流遺伝子の発現が70～80%抑制

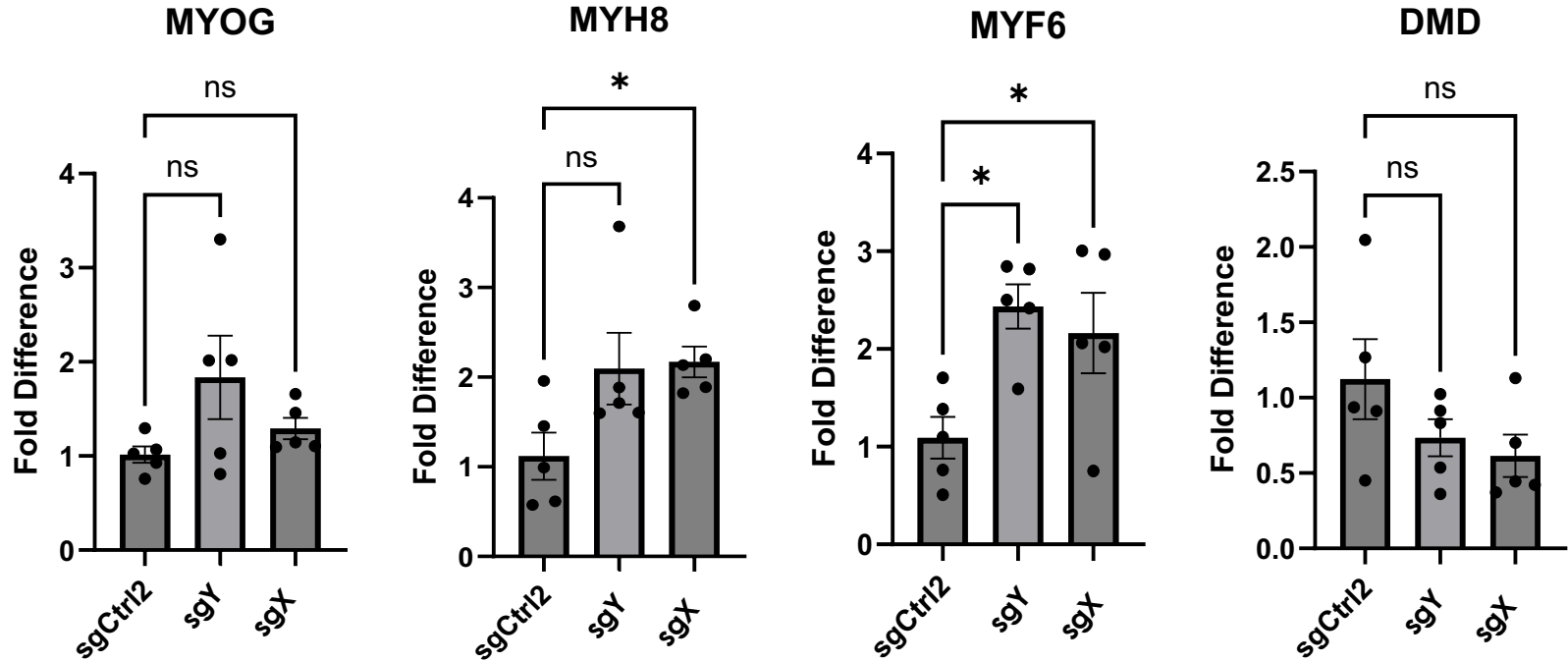


MDL-103では、さらに低用量でも、3つのDUX4標的遺伝子すべてに対して70～80%の抑制効果が得られた



DUX4の選択的抑制

DUX4を抑制しながら筋形成を維持



Dose: 1E14 vg/kg
Statistical significance by ANOVA with Dunnett's test

ASGCTおよびSolveFHD年次報告会におけるデータ発表

Solve FSHD年次報告会

- Progress update of MDL-103
- 日時 2026年4月8日

米国遺伝子細胞治療学会(ASGCT)

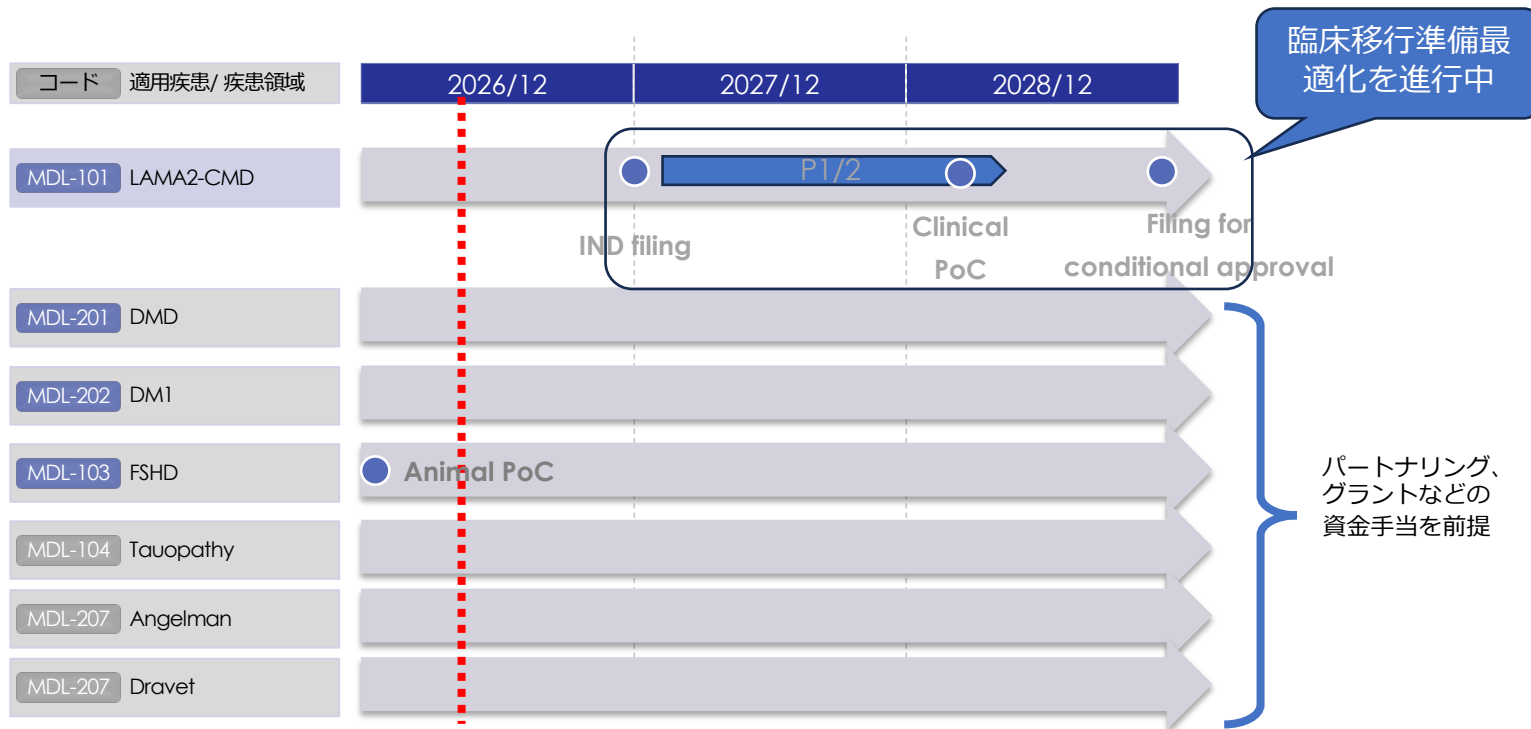
- タイトル: [Pairing AAV genome and capsid engineering of an epigenetic-editing modality to develop a best-in-class treatment for Myotonic Dystrophy Type 1 \(DM1\)](#)
- 日時: 2026年5月12日 5:00-6:30 PM EST
- タイトル: [Epigenetic suppression of Dux4 using CRISPR-GNDM technology as a therapeutic for FSHD](#)
- 日時: 2026年5月13日 5:00-6:30 PM EST



パイプラインの状況と今後のマイルストーン

2028年後半の早期承認制度による申請活用可能性を視野

パイプラインの状況



*予定されるマイルストーンイベントは将来情報であり、状況に応じて変更される可能性があります。

主な進捗と今後予定されるマイルストーン

	これまでの進捗	今後予定されるマイルストーン
MDL-101 LAMA2-CMD	✓ マウス病態モデルでのPoC ✓ サルにおけるターゲットエンゲージメント ✓ Pre-IND実施 ✓ プラスミドのGMP製造完了 ✓ ODD and RPDD受領 ✓ 論文発表(12月)	□ マウスIND enabling試験完了(1H) □ GLP-Tox 完了 □ GMP製造完了 □ IND □ FPDF □ 臨床PoC (2027~2028) □ 2028年以降の条件付き承認申請の可能性を視野(2028) 臨床移行準備最適化の観点から再設定検討中
その他	✓ 動物モデルにおけるPoCを確立 ✓ MDL-201 (DMD) ✓ MDL-202 (DM1) ✓ MDL-103 (FSHD) ✓ MDL-104 (タウオパチー) ✓ MDL-205 (エンジェルマン症候群) ✓ MDL-207 (ドラベ症候群) ✓ JCRとのCNS領域で共同研究 ✓ Solve FSHD conference および ASGCTでの報告(MDL-202, MDL-103)	• 筋疾患および中枢神経プログラムに最適なキャブシドの探索と投与ルートを検討 • パートナリングや助成金等による開発資金の手当て • 動物モデルにおけるPoC確立 • 研究の継続と次のマイルストーンの達成

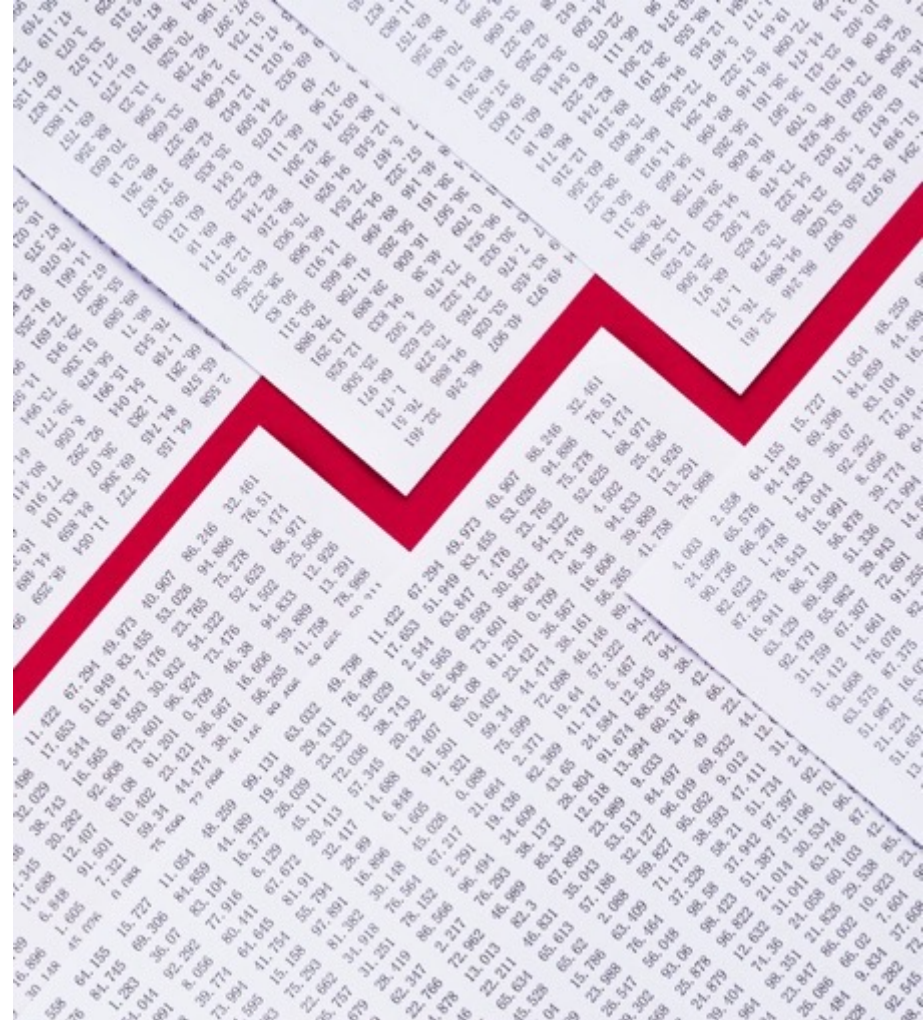
知財の状況

順調に各国以降特許が査定を受けつつある

- デュシェンヌ型筋ジストロフィー（DMD）治療薬の開発を目指す**MDL-201**関連特
「Utrophin遺伝子を標的としたデュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療方法」が韓国登録（特許10-2021-7018333）（1月）



2. 2026年12月期 第1四半期末の 財務状況



2026年 第1四半期末 財務状況(貸借対照表)

2026年以降の事業に向けて必要な一定水準の現金および預金を維持

(百万円)

	2025年12月期末 (A)	2026年12月期 第1四半期末 (B)	差異 (B) - (A)
流動資産	2,892	2,890	△2
現金及び預金	2,812	2,812	0
固定資産	71	51	△20
資産合計	2,964	2,942	△22
流動負債	134	115	△19
固定負債	36	27	△9
負債合計	170	142	△28
純資産合計	2,793	2,799	6
負債純資産合計	2,964	2,942	△22
自己資本比率	93.0%	93.8%	

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の増減は僅少。

2026年第1四半期末 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342百万円を計上

(百万円)

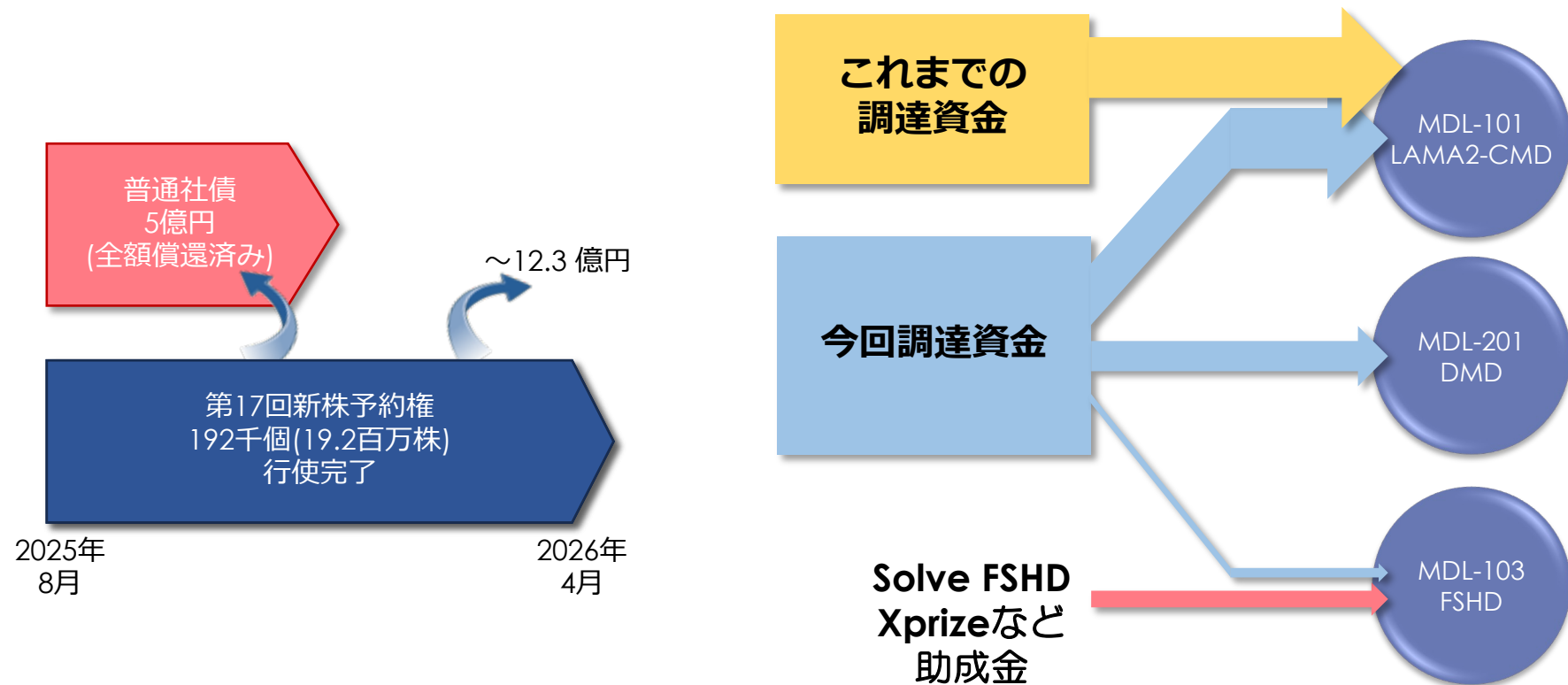
	2025年12月期 第1四半期 (A)	2026年12月期 第1四半期 (B)	差異 (B) - (A)
事業収益	-	-	-
事業費用	632	342	△290
研究開発費	571	293	△278
販管費	61	48	△13
営業利益	△632	△342	290
経常利益	△651	△322	329
当期純利益	△652	△323	329

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。

第17回新株予約権+第2回普通社債による調達状況

第17回新株予約権は行使完了済



3. 成長戦略



3段階のミッションを持ったパイプライン群で可能性を最大化



技術への親和性の高い疾患で PoC を取得

MDL-101



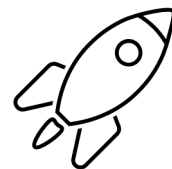
患者規模の大きい対象疾患へと展開

**MDL-201
MDL-202**



よりチャレンジングな
テーマへ拡大

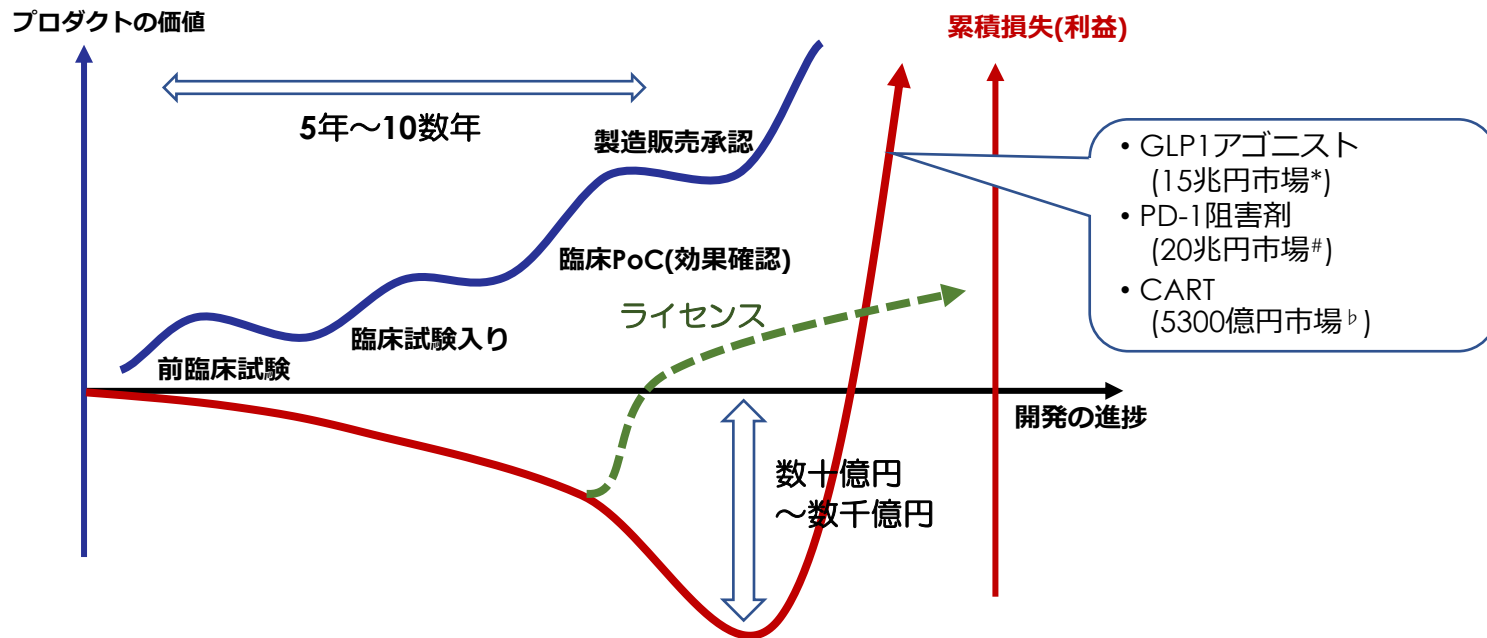
その他のプログラム



バイオテック企業の企業価値と累積費用の推移イメージ

上手く行けば行くほど、お金がかかるのが医薬品開発

パイプライン価値と累積開発費のイメージ



しかし、成功の暁には莫大なリターンが得られる

Source: *岡三証券 “世界が熱狂する肥満症治療薬” *SkyQuest Industry forecast 2023-2030 ^ Report Ocean “CAR T-CELL THERAPY MARKET BY DRUG TYPE”



4. まとめ

2026年第一四半期のキーポイント

1. MDL-101の臨床移行準備を継続。病態モデルにおいて長期生存改善および機能改善を確認。
2. MDL-202が新型キャプシドでベンチマーク薬剤を超えるDMPK抑制効果を示す。
3. MDL-103が病態モデルで低用量でも強い有効性を示したのに加え、筋肉再生に影響を与えないことを確認
4. DMD特許(MDL-201)が韓国で成立
5. 第17回新株予約権の行使完了 (12.3億円の調達)

モダリスには大きな成長可能性がある

- MDL-101の確かな効果と臨床試験に向けた着実な進捗
- MDL-201やMDL-103など市場の大きい後続のプログラムの進捗
- 当面の開発資金の充足

MODALISのバリューハイト

CRISPRを用いた**エピゲノム編集**に基づく治療薬開発に企業として世界で最初に取り組み、CRISPR-GNDM[®]プラットフォームを構築

複数の動物種(齧歯類および霊長類)において、**長期にわたる発現制御と機能改善**を安全性を維持しながら実現

前臨床段階にある**神経筋疾患パイプライン**の他、中枢神経疾患や心筋症など拡張性のあるターゲット領域

難易度の高いAAVに対して**製造法を確立**し、組織選択的なデリバリー法を実現

エピゲノム編集プラットフォームに精通した**経験値の高いチーム**

ライセンス特許を含む複層的な**知財ポートフォリオ**

FDA等との継続的な対話を通じ、臨床開発戦略を構築

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タイムライン見直しの背景

- 重大な新しい安全性問題は確認されていません
- 動物モデルでは有効性が引き続き確認されています
- 将来の成功確率を高めるため、製造や解析などを追加で最適化しています

Q2. 臨床移行に向けて現在重点的に取り組んでいる課題は何ですか？

- 品質評価や製造方法の強化を進めています
- 長期間しっかり効くかを詳しく確認しています
- ヒトでの臨床試験に向けた準備を進めています

Q3. 開発計画の見直しが行われる中で、MDL-101の価値をどのように考えていますか？

- LAMA2-RDには現在ほとんど治療法がありません
- MDL-101は他の遺伝子治療では難しい課題に挑戦しています
- この技術が成功すれば、他の疾患にも展開できる可能性があります

Q4. 現在の現金水準で、どの程度の開発継続が可能ですか？

- 現在28億円超の現預金を保有しています
- 当面の主要開発を進める資金基盤は維持しています
- 助成金や提携なども含めて資金調達手段を広げています

Q5. MDL-202の競争優位性をどのように考えていますか？

- 心筋や横隔膜で強いDMPK抑制効果を示しました
- 特定の遺伝子変異に依存しない治療が期待されます
- 新型キャプシドとGNDM技術の組み合わせが強みです

Q6. エピゲノム編集領域で競争が激化していますが、Modalisの差別化要因は何ですか？

- 遺伝子を「抑える」のではなく「活性化」できる数少ない企業です
- 筋疾患のような難しい領域に挑戦しています
- AAV送達技術とエピゲノム編集技術を組み合わせています。