



2026 年 9 月 10 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 治療に関する DMPK 特許、米国で特許査定のお知らせ

- 当社が開発し、出願した特許出願「DMPK 遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療方法 (Method for Treating Muscular Dystrophy by Targeting DMPK Gene)」が米国で特許査定。
- 当社独自の CRISPR-GNDM®によるエピゲノム編集技術を用いた筋強直性ジストロフィー1 型 (DM1) に対する治療薬候補、MDL-202 に関連する特許

当社の MDL-202 に関連する米国特許出願 (米国特許出願番号 17/614, 461) について、米国特許商標庁 (USPTO) より特許査定 (Notice of Allowance) の通知を受領しましたのでお知らせします。本特許出願の発明名称は「Method for Treating Muscular Dystrophy by Targeting DMPK Gene」であり、今後、所定の手続きを経て米国特許として成立する見込みです。

筋強直性ジストロフィー1 型 (DM1) は、DMPK 遺伝子の非翻訳領域に存在する CTG リピート配列の異常伸長によって引き起こされる遺伝性疾患です。異常に伸長したリピート配列を含む DMPK RNA が細胞内に蓄積し、RNA 結合タンパク質の機能を阻害することで、広範な RNA スプライシング異常などを引き起こします。その結果、筋力低下や筋強直をはじめ、心臓、呼吸器など全身のさまざまな臓器に症状を呈します。

当社が開発する MDL-202 は、独自の CRISPR-GNDM®エピゲノム編集技術を用いて、DNA 配列を切断・改変することなく、疾患原因となる DMPK 遺伝子の転写を選択的に抑制することを目指した治療薬候補です。DM1 では DMPK 由来の毒性 RNA が病態形成の中心的な役割を担っており、MDL-202 は、既に産生された RNA を除去するのではなく、その産生を転写段階から抑制することで、疾患原因により上流から介入することを目指しています。

DMPK を標的とする治療法については複数のモダリティによる研究開発が進められており、その治療効果には標的組織への送達、DMPK 抑制の程度や持続性などが重要であると考えられます。MDL-202 は、CRISPR-GNDM®によって遺伝子発現そのものを持続的に制御するという独自のアプローチであり、当社は DM1 に対する新しい治療選択肢となる可能性があると考えています。

今回査定を受けた特許発明は、DMPK 遺伝子を標的としてその発現を制御することによる筋ジスト

ロフィーの治療方法をカバーするものです。当社は、米国において本発明が特許査定を受けたことは、CRISPR-GNDM®を用いた DM1 治療アプローチの知的財産基盤を強化するとともに、MDL-202 の将来的な事業価値を保護する上で重要な意味を持つものと考えています。

モダリスは *Every life deserves attention*（すべての命に、光を）をコーポレートスローガンに、治療薬のない病気に苦しむ患者さんに治療薬をお届けできるよう、一日も早い製品化を目指しています。

以 上