

2026 年 9 月 11 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)

**ExeGenesis Bio とモダリス、
筋肉指向性 AAV キャプシド EMC181 を用いた
デュシェンヌ型筋ジストロフィー治療薬 MDL-201 の開発提携を発表**

ExeGenesis Bio（本社：米国ペンシルベニア州、代表取締役 CEO：Zhenhua Wu、以下「ExeGenesis Bio」）と株式会社モダリス（代表取締役 CEO：森田 晴彦、以下「モダリス」）は、本日、モダリス独自の CRISPR-GNDM®（ガイド核酸誘導型遺伝子制御）技術を基盤とするデュシェンヌ型筋ジストロフィー（以下「DMD」）治療薬 MDL-201 の開発を推進する提携を発表いたしました。両社は、MDL-201 に関する共同研究およびライセンス契約に署名しており、本契約は 2026 年 9 月 14 日付で発効します。本契約に基づき、モダリスは ExeGenesis Bio が開発した改変型筋肉指向性 AAV キャプシド EMC181 を MDL-201 に使用する権利を取得します。ExeGenesis Bio のデリバリー技術と、モダリスの CRISPR-GNDM®ペイロードおよび開発力を組み合わせることで、両社は臨床応用に向けた研究開発の加速を目指します。

DMD は、筋肉細胞を支えるジストロフィンタンパク質の欠損が原因で、骨格筋、心筋、および呼吸器筋の進行性の機能低下を引き起こす希少疾患です。近年、核酸医薬品をはじめとする治療法が登場したことで、患者さんの治療選択肢は広がりつつありますが、すべての患者さんにおいて長期的な疾患進行の抑制を実現することは依然として大きな課題です。そのため、既存の治療法を補完し得る、あるいは異なる作用機序を持つ新たな治療アプローチの開発が期待されています。

本契約の発効後、共同研究において、モダリス独自のエピゲノム編集技術 CRISPR-GNDM®を用い、筋肉組織においてユートロフィンを持続的かつ選択的に活性化するように設計された治療法 MDL-201 の開発を推進します。MDL-201 は、二本鎖 DNA を切断することなく遺伝子発現を制御することで、ジストロフィンの機能を補完し得るユートロフィンの発現増加を目指します。本契約のライセンス条件に基づき、モダリスは ExeGenesis Bio が開発した筋肉指向性 AAV キャプシド EMC181 を MDL-201 に使用する権利を取得します。EMC181 は筋肉組織への高い指向性に加え、肝臓への移行を抑制する肝臓ターゲティング特性を有しており、オフターゲット臓器への曝露低減を通じた安全性向上が期待されます。EMC181 とモダリスの CRISPR-GNDM®ペイロードを組み合わせることで、筋肉組織への送達を高め、MDL-201 の治療プロファイルを改善する可能性を追求するとともに、遺伝子変異型に依存しない治療戦略として幅広い DMD 患者さんへの適用を目指します。

本提携は、EMC181 を含む ExeGenesis Bio の遺伝子治療研究開発プラットフォームと、モダリス独自のエピゲノム編集技術 CRISPR-GNDM®を組み合わせる取り組みです。ExeGenesis Bio は筋肉指向性および肝臓ターゲティング特性を有する AAV キャプシド技術を提供し、モダリスは CRISPR-GNDM®ペイロードと、MDL-101 を含むプログラムを通じて蓄積した開発ノウハウを提供します。これら相補的な技術と能力を統合することで、標的筋組織への効率的な送達と肝臓など非標的組織への曝露低減の両立を図り、MDL-201 の非臨床および臨床開発に向けた取り組みを加速してまいります。

ExeGenesis Bio 代表取締役 CEO Zhenhua Wu は、次のように述べています。「モダリスと協働し、MDL-201 の開発を推進できることを大変嬉しく思います。EMC181 は、肝臓への曝露を抑えながら筋肉への効率的な送達を可能にすることを目指して開発されたキャプシドであり、モダリスの革新的な CRISPR-GNDM® ペイロードとの組み合わせは、DMD に対する有望なアプローチになり得ると考えています。本提携は、当社の次世代 AAV キャプシドプラットフォームを、アンメットメディカルニーズの高い疾患に対する差別化された遺伝子治療へ展開する当社の戦略を体現するものです。」

株式会社モダリスの CEO の森田晴彦は、次のように述べています。

「ExeGenesis Bio と協働し、MDL-201 の開発を推進できることを大変嬉しく思います。当社の CRISPR-GNDM® ペイロードと EMC181 を組み合わせることで、ユートロフィンの精密かつ持続的な活性化と、筋肉への効率的な標的送達という、相補性の高い 2 つの技術を融合できます。本提携により MDL-201 の臨床開発への移行を加速し、遺伝子変異型に依存しない差別化された DMD 治療アプローチを確立できる可能性があると考えています。当社は、この新たな治療法を一日も早く患者さんに届けるべく、引き続き全力で取り組んでまいります。」

Utrophin (ユートロフィン) と DMD におけるその治療的根拠について

ユートロフィンは、デュシェンヌ型筋ジストロフィー (DMD) 患者さんで欠損しているジストロフィンと構造的・機能的に類似した、生体内に自然に存在するタンパク質です。筋肉の発生初期にはユートロフィンは筋繊維に広く発現し、ジストロフィンと類似した機能を担っていますが、筋肉の成熟に伴ってジストロフィンが主要な役割を担うようになり、ユートロフィンの発現はより限定的になります。これまでの実験的研究から、ユートロフィンの発現を増加させることにより、ジストロフィン欠損による機能を少なくとも部分的に補完し、DMD モデルにおいて筋機能を改善できることが示されています。また、ユートロフィンはジストロフィンとは異なる遺伝子によってコードされているため、内在性ユートロフィンを活性化する治療戦略は、ジストロフィン遺伝子の変異型にかかわらず幅広い DMD 患者さんに適用できる可能性があります。

モダリスは、独自のエピゲノム編集技術 CRISPR-GNDM® を用いて、筋組織における内在性ユートロフィンの発現を選択的かつ持続的に活性化する MDL-201 を開発しています。この遺伝子変異型に依存しないアプローチは、生体が本来備えている代償機構を活用するものであり、幅広い DMD 患者さんに対する新たな治療戦略となる可能性があります。

ExeGenesis Bio について

ExeGenesis Bio は、遺伝子治療およびオリゴヌクレオチド医薬品に注力するバイオテクノロジー企業です。重篤な疾患に対する新たな治療選択肢の創出を目指し、世界をリードするデリバリーベクター技術、AAV ベクターおよび関連技術を活用して、研究開発および事業開発を推進しています。詳細については、同社のホームページをご覧ください。(https://exeGenesisbio.com)

株式会社モダリスについて

株式会社モダリス (TSE:4883) 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/)

本件による当期業績に与える影響は軽微であり、現時点で業績予想の修正はございません。

【本件に関するお問い合わせ先】

Exegenesis Bio 事業開発部

bd@ExegenesisBio.com

株式会社モダリス 経営管理部

ir@modalistx.com

以上