



2024年9月30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)

先天性筋ジストロフィー1a型 (LAMA2-CMD) 治療薬候補「MDL-101」 米国における希少小児疾患指定受理^(注)のお知らせ

株式会社モダリス(本社:東京、代表取締役CEO:森田晴彦、以下モダリス)は、このたび、先天性筋ジストロフィー1a型(LAMA2-CMD)を対象として当社が開発を進めているMDL-101について、米国食品医薬品局(FDA)からRare Pediatric Disease(希少小児疾患)指定を受理しましたのでお知らせします。

このたび受理した希少小児疾患指定は、米国で18歳までに発症し、患者数が20万人未満の希少疾患に対する新薬開発を促進することを目的とした制度です。本指定を受けた開発品がFDAから製造販売承認を取得した際には、別の開発品についてFDAの優先審査を受ける権利が取得可能となります。なお、同時期に申請を行ったOrphan Drug(希少疾患)申請は、FDAにおいて別途審査が進んでおります。

LAMA2-CMDは、LAMA2タンパク質の欠損によって引き起こされる重篤な先天性筋ジストロフィーです。疾患の原因となるLAMA2タンパク質は、3,000アミノ酸を超える大きなタンパク質であるため、AAVベクターには搭載不可能で、一般的な遺伝子治療による開発アプローチは困難だと考えられています。そのため、遺伝子治療を含めてLAMA2-CMDの根本的な原因に対処する治療法は現在ありません。

MDL-101は、モダリスが独自に開発したCRISPR-GNDM[®]を用い、二本鎖DNA切断を導入することなく、筋肉組織全体における姉妹遺伝子LAMA1の有意かつ選択的な発現誘導により、欠損したLAMA2タンパク質の機能改善が期待される革新的治療薬になる可能性を秘めています。

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