



2024年10月25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」 米国における希少疾患指定受理のお知らせ

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)からオーファンドラッグ指定(Orphan Drug Designation(ODD):希少疾病用医薬品指定)を受理しましたのでお知らせします。

このたび受理したODDは、米国では1983年に制定されたOrphan Disease Actに基づき、米国内の患者数が20万人未満であること、医療上特にその必要性が高いものなどの条件に合致するものとして指定される制度です。希少疾患治療薬が医療上の必要性が高いにもかかわらず、患者数が少ないことにより、十分にその研究開発が進んでいない状況を踏まえ、安全かつ良質な医薬品を一日も早く医療の現場に提供することを目的に、開発を支援・促進することを目的に本制度は設定されました。

本指定により米国新薬承認申請時の申請費用の免除、臨床開発に係る連邦税の減免など、FDAからの各種薬事・研究費支援などの開発優遇・促進策が米国にて活用可能となるとともに、承認後には米国における7年間の排他的先発販売権が与えられ、希少疾患における医薬品開発を加速する上で重要となる、多国間での多施設臨床試験に向けて、大きな一歩となります。先に指定を受けたRare Pediatric Disease(希少小児疾患)指定とともに、当社の開発する遺伝子治療が医療上の必要性が高い医薬品として認められた結果だと考えております。

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、難病・希少疾患治療剤の開発に使命感を持って積極的に取り組んでおり、病気に苦しむ患者さんの福音となる治療薬の、一刻も早い製品化を目指しています

以 上