



2025 年 7 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)

LAMA1 遺伝子を標的とした筋ジストロフィー治療に関する米国特許成立のお知らせ

当社が出願していた特許「LAMA1 遺伝子を標的とした筋ジストロフィーの治療方法（米国出願番号：17/635,608）」が、米国特許商標庁（USPTO）により特許として認められましたので、お知らせいたします。

本特許は、当社が開発した CRISPR-GNDM[®]エピゲノム編集技術を用いた、LAMA1 遺伝子を標的とする筋ジストロフィー治療法に関するものであり、発明者は Yuanbo Qin 博士および当社チームです。

LAMA2 遺伝子は、筋組織の構造や機能の維持に関与することが知られており、その発現あるいは機能異常は特定の筋ジストロフィー疾患の病態形成に関与しているとされています。当社の技術では、筋特異的プロモーターの制御下で、疾患原因遺伝子である LAMA2 遺伝子の姉妹遺伝子で構造的にも機能的にも類似する LAMA1 遺伝子に最適化されたガイド RNA を含む GNDM 分子を AAV（アデノ随伴ウイルス）に搭載し、標的筋肉組織に選択的に導入することで、高い特異性をもって LAMA1 の発現を活性化することが可能です。

本特許は、従来の遺伝子治療やその他のモダリティではアプローチし得ない大型の原因遺伝子に対して、CRISPR-GNDM[®]を使用して筋肉に選択的に LAMA1 遺伝子を発現させることを可能にし、失われた LAMA2 の機能を補完する方法に関する権利を主張しています。

2 月に特許登録となった日本に続き、このたび US においても特許が成立したことにより、当社は LAMA1 を標的とした筋ジストロフィー治療に関して、主要な市場である米国における重要な知的財産権を確立し、今後の臨床開発および他地域での特許登録に向けた重要な基盤を築くことができました。

以 上

エピゲノム編集：DNA やヒストンのメチル化などを制御することにより、遺伝子配列はそのままの状態、遺伝子のオン・オフを転写レベルで制御すること。