

報道関係各位

2024年6月13日

## 生物学的製剤評価研究センター、希少疾患のアンメットメディカルニーズに対応するため、4つの加速開発対象薬の一つにモデルナの mRNA-3705 を選定

この資料は、モデルナ（マサチューセッツ州ケンブリッジ）が2024年6月6日（現地時間）に発表したものを日本語に翻訳したもので、報道関係者の皆さまに参考資料として提供するものです。資料の内容および解釈については、英語が優先されます。英語版は、<https://www.modernatx.com> をご参照下さい。

【米国マサチューセッツ州ケンブリッジ、2024年6月6日発】モデルナ（NASDAQ：MRNA）は、本日、米国食品医薬品局（FDA）がメチルマロニル CoA ムターゼ（MUT）欠損によるメチルマロン酸血症（MMA）の治療薬候補である mRNA-3705 を希少疾患治療の臨床試験推進をサポートする(Support for Clinical Trials Advancing Rare Disease Therapeutics：START)パイロットプログラムに選定したことを発表しました。

モデルナのシニア・バイスプレジデントで治療薬とオンコロジー領域の開発責任者カイル・ホーレン医師（Kyle Hole, M.D.）は、「FDA の START パイロットプログラムにモデルナが開発中の MMA を対象とする mRNA 治療薬が選ばれたことを誇りに思います。この選出は、ワクチン以外におけるモデルナの革新的な mRNA プラットフォームと、この新規治療薬が MMA のアンメットメディカルニーズを解決できる可能性を示しています。このプログラムへの選出により、FDA との円滑なコミュニケーションがより可能となり、2024 年のピボタル試験の開始に向けた開発プログラムの加速が期待できます」と述べています。

START パイロットプログラムは、2023 年 9 月に FDA により、希少疾患におけるアンメットメディカルニーズに対応する新規治療の開発を加速することを目的として開始されました。初期選定では、最大 7 つの新規治療が選ばれ、うち 3 つは医薬品評価研究センター（Center for Drug Evaluation and Research：CDER）により、4 つは生物学的製剤評価研究センター（Center for Biologics Evaluation and Research：CBER）により選出されました。このマイルストーン連動型イニシアティブは、製薬企業と FDA とのコミュニケーションを強化することで、ピボタル試験の開始や BLA/NDA 申請前会議をサポートすること目的としています。選出された製薬企業は、臨床開発を支援するための迅速かつ柔軟な FDA との対話、例えば試験デザイン、患者集団、統計方法について通常の正式な会議以外でも FDA のサポートを得ることが出来ます。このプログラムは、規制当局のマイルストーンを効率的に進めるために高品質で信頼性のあるデータ生成を目指して設計されています。

MMA（メチルマロン酸血症）は、最も一般的には（約 60%の症例）ミトコンドリア酵素 MUT の欠損によって引き起こされる希少で生命を脅かす先天代謝異常です。この欠損により、体内に有毒な有機酸が蓄積され、多臓器疾患に進行することがあります。その結果、MMA は高い死亡率と罹患率を伴いますが、承認された治療薬はありません。標準治療には、食事療法や緩和ケアが含まれます。現在、肝移植または肝腎同時移植が唯一の効果的な治療法です。

## mRNA-3705 について

mRNA-3705 は、MMA の原因となる欠損または機能不全に陥ったタンパク質を回復させるよう体に指示を与えるよう設計されており、MMA で一般的に欠損しているミトコンドリア酵素であるヒト MUT をコードする mRNA を、モデルナ独自の脂質ナノ粒子（LNP）に封入したものです。mRNA-3705 は、モデルナのプロピオン酸血症（mRNA-3927）プログラムと同じ LNP を使用しています。mRNA-3705 は、FDA から希少疾病用医薬品、ファストトラック、希少小児疾患の指定を受けています。

## モデルナについて

モデルナは、mRNA 医薬品分野における革新的リーダーです。mRNA 技術の進展を通して、モデルナは医薬品の製造方法を根本から変え、疾患の治療と予防へのアプローチを変革し続けています。モデルナは 10 年以上にわたって科学、技術、健康分野の研究に取り組んでおり、前例のないスピードと効率性で医薬品を開発しています。新型コロナウイルスの開発はその代表例です。

モデルナの mRNA プラットフォームは、感染症、免疫腫瘍学、希少疾患、自己免疫疾患の治療薬やワクチンの開発を可能にしています。独自の企業文化と価値観、マインドセットを共有する世界の社員が力を合わせ、人々の健康に貢献するため、そして mRNA 医薬品を通じて、人々に最大限のインパクトをもたらすべく尽力しています。モデルナの詳細については、[modernatx.com](https://modernatx.com) をご覧ください。また、X（旧 Twitter）、Facebook、Instagram、YouTube、LinkedIn をフォローしてください。

## 将来予測に関する表明

本プレスリリースには、改正された 1995 年度米国民事証券訴訟改革法の意味の範囲内における将来予測に関する記述が含まれています。これには、mRNA-3705 が希少疾患治療の臨床試験推進をサポートする（START）パイロットプログラムに選出され、メチルマロニル CoA ムターゼ欠損によるメチルマロン酸血症の治療におけるその潜在的な利益、および 2024 年にピボタル試験を開始する可能性が含まれています。本プレスリリース中の将来予測に関する表明は約束と保証のいずれでもなく、それらには既知および未知のリスク、不確実性、およびその他の要因が関わり、その多くはモデルナの統制の範囲外にあり、かつ実際の結果を将来予測に関する表明に表現されている、あるいはそれから黙示的に示されるものから大きく異なる可能性があるため、これらの将来予測に関する表明に対して過度に依存しないようお願いいたします。これらのリスク、不確実



性、およびその他の要因には、米国証券取引委員会（SEC）のウェブサイト（[www.sec.gov](http://www.sec.gov)）から入手可能な、モデルナが SEC に提出した 2023 年 12 月 31 日を期末とする年度のフォーム 10-K 年次報告書およびそれ以降に SEC に提出した書類の「Risk Factors」欄に記載されたリスクと不確実性が含まれています。法によって求められる場合を除き、モデルナは本プレスリリースに含まれるいずれの将来予測に関する表明についても、新たな情報、将来的な展開、あるいはその他のいずれを理由とするかを問わず、更新または改訂する意図または責任を持ちません。これらの将来予測に関する表明はモデルナの現時点での予測に基づくものであり、本プレスリリースの日付においてのみ有効です。