



赛诺菲：以创新引领罕见病研发与诊疗

2018年2月28日，中国上海 – 7年前，2岁的祺祺被确诊为戈谢病，这是一种极为罕见的遗传代谢性疾病。由于肚子变得越来越大，他3岁时不得不切除了脾脏。2016年，戈谢病治疗药物——注射用伊米苷酶被纳入浙江医保报销范围，祺祺的身体状况日益好转。妈妈说：他现在能正常上学，期末考试语文考了95分、数学100分！

“牵线木偶人”多发性硬化症、“肚大如鼓的熊猫宝宝”戈谢病、“妈妈肩上的孩子”庞贝病、“渐冻人”肌萎缩侧索硬化症……这些不同寻常名字的背后，是一个个罕见病的“生命杀手”。

每年2月的最后一天，是“国际罕见病日”。数据显示，目前全世界已知罕见病有7000多种。作为全球罕见病治疗领域的领导者，赛诺菲致力于用前沿的治疗方案为罕见病患者带来前所未有的希望。

因为赛诺菲中国深知，很多罕见病患者正在和时间赛跑，他们亟需救助生命的药物。因此，我们时刻保持着紧迫感和责任感，不断增强罕见病产品线，为中国加速引入创新高质的药品；我们积极与政府、学会及各方合作伙伴携手，合力提升中国罕见病的诊疗水平，探索多元化的救助模式。赛诺菲愿意助力罕见病患者直面健康挑战，奋力活出生命的所有潜能。

推进罕见病药物创新研发

罕见病，又称孤儿病，是指发病率极低、患病总人数很少、且可能危及生命的疾病。研究显示，80%以上的罕见病均由遗传因素导致，50%的罕见病在出生或儿童期发病。在世界范围内，罕见病药物研发都是极大的科学挑战。由于患者人群少、市场需求少、药物研发周期和成本都较一般药物高。包括中国在内的绝大多数国家的患者，临床用药远远不能满足其治疗需求，致使许多罕见病患者无药可医。

虽然投入巨大，过程艰难，回报有限，但赛诺菲依然砥砺前行。凭借出色的研发体系及变革性的创新治疗方案，我们在多种罕见疾病领域处于世界领先水平，包括罕见病血液疾病领域（如血友病）、神经系统疾病（如多发性硬化及渐冻人症）、和遗传代谢疾病领域等（如戈谢病及庞贝病）。

同时，我们也在不断丰富和扩大罕见病产品线。2018年年初，主攻用纳米抗体治疗血栓性血小板减少紫癜症的Ablynx公司和专攻血友病的Bioverativ公司归入赛诺菲



大家庭，尝试为血液病领域的罕见病患者提供更为突破性的疗法。

探索本土化罕见病研究

赛诺菲关注中国患者迫切的医疗需求，立足于中国蓬勃的研发生态系统来为中国乃至世界的患者带来更好的解决方案。赛诺菲于 2008 年在上海成立中国研发中心，2010 年成立亚太研发中心，2014 年在上海又成立亚太研发总部，新药研发领域涵盖糖尿病、哮喘、罕见病等多个方面。

2012 年，赛诺菲中国研发中心与中国医药工业研究总院签署合作备忘录，共同进行我国首个罕见病领域疾病诊断及治疗的联合研究，目标是加快国内罕见病领域研发转化为医学成果，从而为中国患者提供量身定制的治疗方案，为我国罕见病领域的迅速发展创造空间与可能。

加快罕见病药物在中国上市

从《关于深化审评审批制度改革鼓励药品医疗器械创新的意见》，到 CFDA 最新公布的《临床急需药品有条件批准上市的技术指南（征求意见稿）》，罕见病治疗创新药物犹如坐上了“和谐号”高铁，不断“提速”惠及中国千万罕见病患者。在新政的引领和激励下，赛诺菲与各方写作，不断加速引进已在海外批准上市的罕见病创新药品，其中包括：

肌萎缩侧索硬化症（渐冻人症）：一种危及生命的神经系统罕见疾病，患者常表现为肌肉消瘦无力、痉挛，肌束震颤，语言不清，吞咽困难等症状，据统计我国约有 6 万多名患者。利鲁唑片于 1998 年在中国获批上市，有效延缓疾病进展。

戈谢病：一种遗传代谢性疾病，常见的症状是多种器官受累发病，例如肝脾肿大、骨痛、血小板减少、贫血、生长发育迟缓等等。我国已被明确诊断的戈谢病患者人数约为 300 人。2008 年，注射用伊米昔酶在华获批用于确诊非神经病变型（I 型）戈谢病的治疗，2009 年正式上市；2017 年 9 月，增加慢性神经病变型（III 型）戈谢病的治疗适应症。

庞贝病：一种遗传代谢性疾病，主要表现为呼吸困难和渐进性肌无力。婴儿型庞贝病容易引发严重的心脏受累，并且通常疾病进展非常迅速，很少有婴儿能够存活过 1 岁。我国已确诊庞贝病患者仅百余人。去年 5 月，注射用阿糖苷酶 α 正式进入中国市场，开始为中国庞贝病患者提供治疗，这是全球首个也是目前唯一一个针对庞贝病根本病因的治



疗药物。

多发性硬化症：一种中枢神经系统脱髓鞘疾病，常见的首发症状包括单肢或多肢无力麻木、步态不稳、眩晕、构音障碍、肢体感觉异常、躯干的束带感、视力减退、三叉神经痛、复视等。令人欣喜的是，小分子口服药物特立氟胺今年有望在中国上市，用于治疗复发型多发性硬化，让中国的多发性硬化症患者可以走出阴影，获得更好的治疗，过上有尊严的生活。

积极推动罕见病药物可及性 探索多元化救助模式

在新药研发并引入中国的基础上，多年以来，赛诺菲一直积极与各方携手，通过创新与合作来满足中国罕见病患者的医药卫生需求，共同探索罕见病治疗的可持续发展道路，努力惠及更多中国罕见病患者。

- 自 2008 年以来，赛诺菲与中华慈善总会合作开展注射用伊米苷酶“慈善援助项目”，为中国的 130 余名戈谢病患者免费援助药品，至今累计援助金额已超 4 亿元人民币。
- 2017 年 6 月 23 日世界渐冻人日，赛诺菲中国与中国医师协会、中国 ALS 协作组联合录制的中国首支渐冻人公益歌曲《为爱解冻》在京发布，为渐冻人患者带来了对抗疾病的鼓励和憧憬生命的希望，进一步向公众普及疾病知识，提升患者对早期症状及规范治疗的认知。
- 2015 年 1 月，注射用伊米苷酶被纳入青岛市大病医疗救助范围；2016 年 1 月，被纳入浙江省、青岛市等多个地区的大病保险支付范围。2017 年 9 月起，利鲁唑陆续进入全国各省市医保目录，渐冻人患者平均每年治疗费用节省约 40000 元。
- 2018 年国际罕见病日，赛诺菲参与协办、支持了多项公益宣传活动和学术活动，旨在针对罕见病群体所面临的问题进行深入探讨，共同推动中国罕见病的防治工作，宣传罕见病防治知识，提高公众对罕见病的关注。



关于赛诺菲

赛诺菲致力于帮助人们应对健康挑战。我们是一家全球生物制药公司，专注人类健康。我们用疫苗预防疾病，提供创新的治疗方案减轻病痛和困扰。我们助力罹患罕见病的极少数人，也支持长期受慢性病困扰的千万患者。

赛诺菲共有 10 万余名员工，遍及 100 多个国家，致力于将科学创新转化为医疗健康解决方案。

Sanofi, Empowering Life. 赛诺菲，让生命绽放。

关于赛诺菲中国

赛诺菲于 1982 年进入中国，总部位于上海，业务覆盖制药和人用疫苗（赛诺菲巴斯德）。集团在北京、天津、沈阳、济南、杭州、南京、武汉、成都、广州、福州和乌鲁木齐共设有 11 个区域分支机构，并在北京、杭州和深圳建有三家生产基地。截止 2016



年底，赛诺菲在中国约有 9,000 名员工。

赛诺菲在上海设有中国研发中心和亚太研发总部，具备了从药物靶点研究到后期临床试验的整体研发实力，并专注于中国与亚太的高发疾病，如肝病、糖尿病、肿瘤和心血管疾病。

如需了解更多信息，请访问 www.sanofi.cn。

赛诺菲前瞻性声明

本新闻稿包含前瞻性声明。前瞻性声明并非对历史事实的陈述。这些声明包括预测和估计及基本假设，对于公司未来计划、目的、意图的陈述，对未来财务状况、事件、运营、服务、产品开发和潜力的展望，以及关于未来业绩表现的陈述。通常可以利用诸如“期望”、“预期”、“相信”、“打算”、“估计”、“计划”等词语，以及类似表达作为判定前瞻性声明的依据。尽管赛诺菲管理层认为该篇前瞻性声明中所反映的预期具有合理性，投资者仍需注意这些前瞻性信息和声明受制于诸多风险和不确定性因素，其中许多难以预测且通常不被赛诺菲所控制，这可能导致实际结果和发展与前瞻性信息和陈述中所表达、暗示或预测的信息存在重大差异。这些风险和不确定因素主要包括研究和开发中固有的不确定因素，未来的临床数据和分析，包括产品上市后所获取的数据和所进行的分析，监管当局的决定，例如美国食品及药物管理局或欧洲药品管理局关于是否及何时批准任何药品、医疗器械或可能备案用于候选产品的生物用品上市的决定，以及这些机构关于产品标识和其他可能影响此类候选产品的可用性及商业潜力等事宜的决定，获得批准的候选产品不能保证肯定获得商业成功，未来替代性疗法的获批及其商业上的成功，集团受惠于外部增长机会的能力，汇率变化趋势与普遍利率，成本控制政策及由此带来的结果，已发行股份的平均数以及赛诺菲在公开呈报给美国证券交易委员会 (SEC) 和法国金融市场管理局 (AMF) 的报告中已作讨论或明确的部分，其中包括列于表 20-F 的赛诺菲年度报告（截止日期 2016 年 12 月 31 日）中的“危险因素”和“前瞻性声明警示”。除非存在可适用的法律规定，赛诺菲不承担更新和修改任何前瞻性信息和陈述的义务。