



中国首个溶酶体贮积症专项救助基金在沪设立 以创新模式，优先探索可防可治罕见病医疗保障机制

2017年4月9日，中国上海 - 今天上午，我国首个用于溶酶体贮积症类罕见疾病救助的专项基金于上海正式启动。这一基金由上海市罕见病防治基金会与上海市医学会罕见病专科分会联合设立，赛诺菲中国和上海觉群文教基金会给予了大力支持。上海市罕见病防治基金会理事长、上海市医学会罕见病专科分会主任、国家卫计委罕见病诊疗与保障专家委员会委员李定国教授；上海新华医院儿童内分泌科张惠文等共同出席了主题为“因为爱·化坚冰”的专项救助基金成立仪式。

溶酶体贮积症专项救助基金的设立，旨在提升社会各界对溶酶体贮积症及其患者的关注，凝聚力量、积小善行大爱，为社会尽一份责任、做一份贡献；同时，也希望通过这种多方协作的创新机制的探索，为以戈谢病为主的溶酶体贮积症患者和他们的家庭尽可能多的提供医疗保障，并在此基础上，提升中国溶酶体贮积症的整体防治水平，进一步推动中国对罕见病及罕见病患者的关注和救助机制的完善。



上海市罕见病防治基金会理事长李定国教授向赛诺菲中国特药事业部负责人

关注罕见病群体 溶酶体贮积症先行

溶酶体贮积症（LSD, Lysosomal Storage Diseases）是一组罕见的遗传性代谢疾病，包含 50 多种疾病类型，其中较为常见的是戈谢病（Gaucher Disease）和庞贝病（Pompe Disease）。溶酶体贮积症是由于基因突变造成溶酶体中的酸性水解酶缺陷，导致机体中相应的生物大分子不能被正常降解而贮积在溶酶体中，最终引起细胞组织器官功能障碍。

酶替代疗法是针对溶酶体贮积症直接有效的治疗方案，可改变疾病自然病史、延缓病情进展，缓解血液学指标，减轻骨痛和器官体积。以戈谢病为例， β -D 葡萄糖基-N-乙酰基鞘氨醇葡萄糖水解酶

（注射用伊米苷酶）替代疗法使其成为罕见病中，极少数的拥有有效治疗的方法的“幸运儿”。戈谢病在我国的发病率为 1/200,000~1/500,000¹，而越早通过酶替代疗法进行治疗，越能帮助这些患者缓解骨病等疾病症状，使他们重返社会、回归正常生活。

而高昂的治疗费用和医保覆盖的局限性，却使这极少数的幸运儿面临沉重的治疗经济负担，因病致贫的现象在以戈谢病为代表的罕见病领域屡见不鲜，更有患者因为无法负担治疗费用而不得不中断治疗，放弃健康甚至生命的希望。上海市罕见病防治基金会理事长、上海市医学会罕见病专科分会主任、国家卫计委罕见病诊疗与保障专家委员会委员李定国教授指出：“此次专项救助基金的设立，希望能够呼吁社会各界对罕见病的关注，和对罕见病患者的关爱。以支持溶酶体贮积症类罕见病患者的诊治与救助为开端，优先集中力量、在可防可治的罕见病领域探索多种创新模式，帮助患者获得充分的医疗保障，并有效提升我国罕见病的诊疗水平。”



¹ 数据来源：中国罕见病，《罕见病纪念日 | 7.26 国际戈谢病日》，http://www.hanjianbing.org/content/details_12_2401.html

上海市罕见病防治基金会理事长、上海市医学会罕见病专科分会主任、
国家卫计委罕见病诊疗与保障专家委员会委员李定国教授作总结发言

多方共建创新保障机制 探索罕见病患者救助之路

由于公众、患者乃至临床医生对于以戈谢病为代表的罕见病认知较低，患者常常需要辗转多个科室、多家医院，经过数年的时间才能确诊。戈谢病患者往往需要 4 至 10 年²时间，甚至是 20 年³时间才能确诊。“像戈谢病这一类溶酶体贮积症，规范化、足剂量的早期介入治疗对于患者病情的改善、严重并发症的预防都将起到至关重要的作用。而长达数年的误诊、漏诊不仅贻误了最佳治疗时机，更可能造成患者终身残疾甚至死亡。”上海新华医院儿童内分泌科张惠文分析道：“临床医生不仅要确诊患者积极开展定期观察、随访，全方位掌控病情；更要提高对罕见病的关注与认识，加强临床症状疑似高危人群筛查，做到‘早诊断、早治疗、更多获益’。”



上海新华医院儿童内分泌科副主任医师张惠文介绍溶酶体贮积症的诊断与治疗

“关注罕见病是社会文明的象征、是医学科学水平提高的标志之一。”李定国教授在会议总结时指出：“罕见病的防治工作需要凝聚政府、企业和社会组织等各界力量，多方携手，群策群力。今天，上海以溶酶体贮积症作为一个起点，率先在罕见病患者医疗保障方面作出有益探索，成为行业表率。未来，希望能够看到更多省份，以更多样的方式实践探索；并最终实现我国整体对罕见病防治水平的提升，并使广大罕见病患者和他们的家庭能够获得平等的接受治疗、重返健康生活的机会与权力。”

² 数据来源：Mistry PK, Sadan S, Yang R, Yee J, Yang M, Am J Hematol 2007;82:697.

³ 数据来源：中国罕见病，《浙江启动戈谢病高危筛查项目 为罕见病患者送福音》，http://www.hanjianbing.org/content/details_10_3107.html

“作为全球领先的医药健康企业，赛诺菲始终将患者的需求放在首位，这其中，也包括罕见病患者。”赛诺菲中国总裁彭振科先生表示：“在罕见病层面，除了高质量的创新药物，赛诺菲积极的与政府相关机构、行业协会学会、专业医疗机构探索多重创新方式，提升专业医生、患者乃至公众对这一特殊疾病领域的关注和认知；更率先投入到创新医疗保障模式的积极探索中，在提升患者治疗可及性的同时，推动中国罕见病防治工作的整体发展。”

关于赛诺菲

赛诺菲是一家全球领先的医药健康企业，专注于患者需求，研究、开发并推广创新的治疗方案。赛诺菲拥有五大全球事业部：糖尿病与心血管疾病、普药与新兴市场、赛诺菲健赞、赛诺菲巴斯德和健康药业。赛诺菲分别在巴黎（欧洲证交所代号：[SAN](http://www.sanofi.com)）和纽约（纽约证交所代号：[SNY](http://www.sanofi.com)）上市。

如需了解更多信息，请访问 www.sanofi.com。

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、上海、杭州、南京、武汉、成都、广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。