



生命因你 美而赞放 全球首款庞贝病治疗药物美而赞®在中国大陆上市

2017年5月13日，中国上海 – 赛诺菲旗下创新药物美而赞®（注射用阿糖苷酶 α ）于2016年底被国家食品药品监督管理总局（CFDA）批准用于庞贝病（酸性 α -葡萄糖苷酶[GAA]缺乏症）患者的治疗。赛诺菲中国今天召开新闻发布会宣布，美而赞®（注射用阿糖苷酶 α ）正式进入中国市场，并已经开始为中国庞贝病患者提供治疗。这标志着，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美而赞®在中国大陆成功上市。自2007年美而赞®首次在美国上市以来，目前已为超过60个国家2,000多位各类型的庞贝病患者带来高效、安全的治疗。



（从左至右：赛诺菲中国特药事业部负责人吴清漪女士、山东大学齐鲁医院精神内科主任焉传祝教授、上海市罕见病防治基金会理事长李定国教授、广东中山大学附属第一医院神经内科主任张成教授、上海儿童医学中心心内科主任医师傅立军教授）

庞贝病，一场和时间的赛跑

庞贝病，也被称为酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏症或II型糖原贮积病，是由酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏引起的一种常染色体隐性遗传疾病。根据其症状和体征发生的时间，被分为早发型（婴儿型）和晚发型（儿

童及成人型)两种。

“作为一种罕见病，庞贝病的新生儿发病率约为 1/40,000，而目前我国已确诊庞贝病患者仅百余人。”上海儿童医学中心心内科主任医师傅立军教授介绍道，“酸性 α -葡萄糖苷酶的缺乏可导致糖原在溶酶体内积累，造成肌肉、心肌、骨骼肌和呼吸肌严重、且不可逆转的受损。随着时间的推移，会导致患者心肺衰竭和运动障碍，进而全身功能衰竭而过早死亡。因此，对于庞贝病患者来说，疾病治疗就是一场与时间的赛跑。”



上海儿童医学中心心内科主任医师傅立军教授发言

“很多临床医生都不知道这个疾病，因此患者往往被误诊和漏诊。早发型患者通常在症状出现 3 个月后确认，而晚发型患者的确诊时间则平均为 7-10 年。”山东大学齐鲁医院神经内科主任焉传祝教授分享道，“我国政府、学会以及相关方面的专家近年来也从多方面努力，提高罕见病诊疗的水平和质量，建设规范化的临床诊疗路径，建立罕见病诊疗中心，加强医护人员的培训。从整体上，提高疾病诊疗和患者管理水平。”

美而赞®，挽救的不仅是生命

在今年 2 月的世界罕见病日，新任美国总统特朗普邀请一位 20 岁的女孩参加了其上任后首次国会两院联席会议。特朗普在演讲中描述她为“创造奇迹的年轻女性，激励着每一个人”。这位女孩名叫梅根·克劳利 (Megan Crowley)，是一名庞贝病患者。在 15 个月大时，她被确诊患上庞贝病，医生断言她不可能活过 5 岁。但是，由于父母的坚持，经过不懈的努力，她最终接受了美而赞®的治疗，并在社会各界的关爱下，成为了美国圣母大学一名在读的二年级学生。

“治疗之于庞贝病患者来说，是生与死的区别。”广东中山医科大学附属第一医院神经内科主任张成教授感叹道，“针对庞贝病酸性 α -葡萄糖苷酶缺乏的致病原因，美而赞®通过酶替代疗法，替换

不存在或缺乏的酸性 α -葡萄糖苷酶，改变庞贝病的病程发展，实现临床治疗结果。帮助患者改善或维持肌肉功能，稳定呼吸系统，保持较高的生存率。并使庞贝病成为罕见病中，极少数拥有有效治疗的方法的‘幸运儿’。”



群策群力环节

政策关注，多方共促，赢得与时间的赛跑

“今天，赛诺菲非常欣喜地迎来美而赞®在中国大陆市场的正式上市，这是赛诺菲多年不懈努力的结果，更是相关政府、协会以及医学专家共同为庞贝病患者赢得生命和健康希望的成果！”赛诺菲中国总裁彭振科先生表示：“患者是我们一切工作的核心。赛诺菲作为全球罕见病领域的领导者，我们致力于用前沿的治疗方案为罕见病患者带来的前所未有的希望。在美而赞®成功上市后，赛诺菲会继续在提升罕见病的诊疗水平以及携手各方探索罕见病治疗的可持续发展道路方面做出更多努力。”

此次美而赞®的获批，是通过 CFDA 免三期临床试验流程进入中国大陆市场，从而为庞贝病患者带来有效治疗的。近期，CFDA 等医药健康管理机构对于罕见病诊疗，以及罕见病患者迫切的治疗需求日益重视，相继推出了药品注册申请的“优先审评审批”等政策、提案，涵盖极具临床价值、临床急需的药物；而其中罕见病药品的注册申请也获得了优先审评审批，更获得了行业的普遍关注和高度认可，期待之后有更多的创新药物能够尽快进入中国。

“在有药可用之后，如何让包括庞贝病在内的罕见病患者用得上药、用得起药，这需要政府、社会团体、医疗机构、患者组织以及企业共同努力，”上海市罕见病防治基金会理事长李定国教授补充道，“我们很高兴看到，目前我国有些省市已经在罕见病医疗保障方面进行了多重积极的探索，并获得了宝

贵的成功经验。我希望有更多有益的尝试能够尽早的惠及到这些亟需帮助的患者和他们的家庭，让他们有机会实现生命的希望。”

-完-

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](#)）和纽约（纽约证交所代号：[SNY](#)）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、杭州和深圳建有四家生产基地。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 2015 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。