

首部中国多发性硬化患者生存报告年内即将发布 一半多发性硬化患者不能被立即确诊 易致残并发生“MS人格” “生命捷力”患者援助方案公布

2018年10月20日，中国上海 - 继创下罕见病药物奥巴捷®（特立氟胺片）58天在华上市“新速度”之后，中华医学会神经病学分会、中国医疗保健国际交流促进会和赛诺菲中国今天透露：中国首部多发性硬化患者生存报告年内即将出炉。根据报告热点解读：中国约有超过3万名多发性硬化患者¹，发病高峰集中在20-40岁，女性多于男性；只有不到50%的患者能立即确诊；由于该病反复复发，患者易致残并发生“MS人格”，其中13.2%有自杀想法。

在今天同期举行的国内首个治疗多发性硬化的口服疾病修正治疗药物——奥巴捷®上市会上，中国初级卫生保健基金会联合赛诺菲也公布了“生命捷力”患者援助方案，符合条件的多发性硬化患者接受药品援助后，年药物治疗费用可降低40%以上，低保患者甚至可获得全免援助。

中华医学会神经病学分会主任委员、北京协和医院神经内科主任崔丽英教授指出，“我们非常欣喜的看到，中国的罕见病治疗领域又引入了一种全新的治疗方式。作为第一个在国内获批的口服疾病修正治疗药物，奥巴捷®将为医生和患者提供了一种更为方便的治疗选择，可有效降低患者年复发率，延缓残疾进展²。”

中国多发性硬化患者生存报告热点速递

多发性硬化在我国属于罕见病的一种，此前业界对这一疾病研究数据并不多。今年中华医学会神经病学分会牵头进行了首次大范围的多发性硬化患者生存现状调研，涉及全国50家医院、58位医务工作者和1362名患者，分布28个省、直辖市和自治区（安徽、新疆、西藏、宁夏及港澳台除外）。

北京协和医院神经内科徐雁教授就即将出炉的2018中国多发性硬化患者生存报告做了热点速递³，其中包括：

疾病特点：发病高峰20-40岁，女性多于男性。最常见的临床表现为感觉障碍、肢体运动障碍和疲劳。中位进展多发性硬化的病程为12年，提示我国患者进入进展阶段时间可能较欧美患者早，这与我国缺乏复发治疗可能有关。

¹ 毛悦时,吕传真. 多发性硬化的流行病学. 国外医学(神经病学神经外科学分册)2004;31(4):328-31

² Miller AE. Teriflunomide in multiple sclerosis : an update. Neurodegener Dis Manag. 2017 ;7(1) :9-29

³ 此次会议为2018年中国多发性硬化患者生存调研的热点速递，最终数据以定稿发表的正式报告为准

诊疗现状：确诊周期长，仅有不到一半的患者就诊后能被立即确诊。缓解期规范治疗仅占 13.6%，而欧美患者高达 83.4%，这与我国药品缺乏以及患者负担不起有关。欧美多发性硬化的治疗药物多达 13 种，可以分级治疗，而我国目前仅有 2 种。

公众对该病认知度低：94.7%的患者在确诊前从未听说过该病。84%的患者有负面情绪，13.2%患者有自杀想法。

对患者生活影响较大：14.5%-18%的患者患病后与家人和朋友的关系变差，产生所谓的“多发性硬化 MS 人格”。调研人群中仅有不到一半的患者还在工作，由于这些患者均为中青年，因此，给社会也带来了巨大的负担。85%以上的患者报告病情对正常工作有影响。

此外，由于该病反复复发，可能会引发残疾，因此，给家人也带来了巨大的负担。每次复发住院，83.7%的患者需要家人陪护，时间中位（12 年）误工时间约为 10 天。18.3%的患者家人因照顾患者而放弃工作。每次复发住院治疗费用，60.5%的患者花费超过 1 万元。

“很多罕见病一旦发病，需要终身治疗，对患者和家庭都是一种沉重的负担。”崔丽英教授呼吁：“罕见病的治疗，需要社会各界积极参与和共同行动。我们要共同推动罕见病相关知识的普及，提升公众对罕见病的认知度，及早确诊并进行相应治疗，才能使患者获得更好的预后。”

患者援助细则公布

为减轻患者经济负担，提高患者的生存机率和生活质量，中国初级卫生保健基金会设立了“生命捷力-多发性硬化患者援助项目”，对符合奥巴捷®适应症的患者予以援助。

据介绍，对于低保患者，获得县/区级民政部门认可并领取低保金满一年的城镇低保/农村特困复发型多发性硬化患者，可获得本项目全免援助；对于低收入患者，首次申请：自费 4 盒后援助 2 盒；后续申请：继续自费 3 盒后再援助 3 盒。

赛诺菲方面表示：“生命捷力”项目旨在帮助多发性硬化患者减轻疾病经济负担，提高药物可及性。未来，赛诺菲还将与各方一起努力，携手政府、学会及各方合作伙伴，合力提升中国罕见病的诊疗水平，探索多元化的救助模式，通过慈善项目和医保覆盖，提升罕见病患者的药物可及性，帮助中国多发性硬化患者改善治疗现状。

中国免疫学会神经免疫分会主任委员、中山大学附属第三医院神经内科胡学强教授强调：“作为一种新型治疗选择，奥巴捷®在有效降低复发率的同时表现出了很好的耐受性，此外，便捷的服药方式可有效提升患者的依从性，大大改善患者预后。今年即将更新的《2018 年中国多发性硬化诊疗专家共识》中，将推荐奥巴捷®为缓解期治疗一线用药，用于控制疾病进展。”研究显示，与安慰剂相比，奥巴捷®显著降低了患者年复发率，延缓了残疾进展，并且在扩展研究中疗效维持长达 10 年^{4,5}。在 TOWER 研究中，奥巴捷®14mg 治疗组中国亚组患者的年复发率相对风险降低了 71.2%，同组的全球患者年复发率相对风险则降低了 36.3%⁴。

⁴ O'Connor P, et al. Randomized trial of oral teriflunomide for relapsing multiple sclerosis. N Engl J Med. 2011;365(14):1293-303

⁵ Confavreux C. Oral teriflunomide for patients with relapsing multiple sclerosis (TOWER): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. Lancet Neurol. 2014;13(3):247-56

58 天创罕见病新药上市纪录 25 家药房实现快速供货

今年 5 月，国家公布《第一批罕见病目录》，多发性硬化、戈谢病等 121 种罕见病被纳入其中。7 月 23 日，口服剂型疾病修正治疗药物奥巴捷®在华获批。9 月 19 日，京沪广三地患者也拿到了这一期待中的新药。从获批到供药，奥巴捷®仅仅用了 58 天，创下了近期国内罕见病创新药物从获批到上市的“最快速度”。

据赛诺菲透露，目前奥巴捷®已在全国一、二线城市的 25 家药房实现快速供货。到今年年底，预计将实现在全国大部分城市供药。

“作为罕见病领域的领导者，凭借卓越的研发能力，我们一直在为中国的罕见病患者提供创新的产品，包括治疗戈谢病的思而赞，治疗庞贝病的美而赞，治疗渐冻症的力如太等，今天，这份清单上又新增了一位新成员——治疗多发性硬化的奥巴捷®。”赛诺菲中国副总裁吴清漪女士强调：“未来，赛诺菲中国将继续深耕罕见病领域，以创新引领罕见病研发与诊疗，继续引入更多的全球革新性产品组合和解决方案，满足中国患者日益增长的医疗和健康需求，让中国的罕见病患者可以走出阴影，获得更好的治疗，过上有尊严的生活。”

附件：2018 中国多发性硬化患者生存报告摘要

注：此次会议为 2018 年中国多发性硬化患者生存调研的热点速递，最终数据以定稿发表的正式报告为准

1. 调研覆盖面广：50 家医院，58 位医生参与，共 1362 名患者参加调研。调研分布 22 个省 4 个直辖市，2 个自治区，覆盖面广，是目前最能反映多发性硬化患者情况的一次调研。

2. 涉及了多发性硬化的各个亚型：临床孤立综合征患者（CIS）175 名，复发缓解型患者（RRMS）1126 名，继发缓解型患者（SPMS）46 名，原发进展型患者（PPMS）15 名。

3. 疾病特点方面，中国患者既有自己的特殊性也有和欧美患者的共性：

- 发病高峰 20-40 岁，女性多于男性，与欧美相当；
- 病变累及多个系统，最常见的临床表现为感觉障碍、肢体运动障碍和疲劳；
- 每年复发在 2 次以上的活跃患者比例较欧美患者低；
- 功能残疾评分随病程延长显著升高，时间中位 12 年进展多发性硬化的病程为 12 年，提示我国患者进入进展阶段时间可能较欧美患者早，这与我国缺乏复发治疗有可能有关。

4. 诊疗现状堪忧：

- 确诊周期长，仅不到一半患者就诊后能立即确诊，延迟确诊的主要原因有复诊、以及目前我国下级医院和医生对罕见病认识不足有关；
- 解期规范治疗仅占 13.6%，欧美患者高达 83.4%，与我国缺药以及患者负担不起有关；
- 欧美多发性硬化治疗药物多达 13 种，可以分级治疗，我国目前仅有 2 种，还仅仅只是最基本的药物，对于活跃患者药物尚无；
- 者对未来治疗最希望改进的是药物的可及性（主要是费用）。

5. 众对该病认知度低：94.7%患者在确诊前未听说该病，因此，一旦确诊，会非常焦虑；84.0%患者有负面情绪；13.2%患者有自杀想法。

6. 病对患者生活影响较大：

- 14.5-18%患者患病后与家人和朋友的关系变差，我们称之为“多发性硬化 MS 人格”；
- 调研人群中仅有不到一半患者还在工作，由于这些患者均为青中年，因此给社会也带来巨大负担。85%以上患者报告病情对正常工作有影响；
- 由于该病反复复发，可能会引发残疾，因此给家人也带来巨大负担：
 - = 多次复发住院，83.7%的患者需要家人陪护，时间中位（12 年）误工时间约为 10 天；
 - = 73.4%的患者门诊就诊时需要家人陪伴，中位误工时间约为 2 天；
 - = 18.3%患者家人因照顾患者而放弃工作；
- 多次复发住院治疗费用，60.5%患者花费超过 1 万元。

7. 本次调研意义:

- 了解我国目前多发性硬化诊疗现状，未来如何改进；
- 了解我国患者就诊和生活现状，未来如何帮助他们更好的与疾病共存。

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、人用疫苗和消费者保健。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 个区域办公室，并在北京、杭州和深圳建有三家生产基地。赛诺菲在中国约有 9,500 名员工。

赛诺菲在上海设有中国研发中心和亚太研发总部，在成都设有全球研发运营中心。我们的研发专注于中国与亚太的高发疾病，如糖尿病和肿瘤等疾病。

如需了解更多信息，请访问 www.sanofi.cn，或关注“赛诺菲中国”微信公众号。

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、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 2017 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。