

国内首个法布雷病特效药法布赞®上市 “生命礼赞”援助项目同时启动，罕见病保障共唤多方关注

2020年6月6日，中国上海 – 今天，法布赞®中国上市会在北京和上海线上同步举行，宣布中国首个法布雷病特效药法布赞®（注射用阿加糖酶β）在国内上市，用于被确诊为法布雷病（α-半乳糖苷酶A缺乏）患者的长期酶替代疗法，适用于成人、8岁及以上的儿童和青少年。同时，中国初级卫生保健基金会联合赛诺菲启动了“生命礼赞”法布雷病患者援助项目，为符合条件的患者提供药品援助，减轻患者经济负担。



法布赞®中国上市会启动仪式

北京医学会罕见病分会副主任委员王琳表示：“法布赞®的上市经历了十几年的沉淀，是赛诺菲和我国社会各界共同努力的结果，一方面将为中国罕见病患者带来福音，另一方面也体现了我国罕见病事业的进步。罕见病诊疗发展的征程任重而道远，还需要持续探索多层次的医疗保障制度，尽可能地逐步减轻罕见病患者的用药负担，让每个罕见病患者都享有健康权。”



北京医学会罕见病分会副主任委员王琳

破解法布雷病治疗困局，我国罕见病诊疗再获突破

法布雷病是一种罕见的 X 伴性遗传的溶酶体贮积症，临床表现多样，手脚肢端的灼烧样疼痛是其常见的首发症状，患者常常出现如手脚烧灼般的疼痛，此外，患者在儿童时期会出现少汗或无汗、不耐热等症状，严重时甚至无法正常生活。随着疾病进展，法布雷病还会对患者的肾、心脏、脑、神经等各器官产生严重损害造成病变，如得不到有效治疗，将严重危及生命。

目前，我国有超过 300 名已诊断的法布雷病患者。长期以来，由于临床症状的多样性，法布雷病患者常常在多个医院、多科室之间辗转，确诊十分困难。即使得到确诊，也没有特效药物可用，导致多数患者死于肾脏功能衰竭或心肌肥厚以及脑卒中等严重并发症，亟待创新的治疗方法。作为中国首个获批的法布雷病特效药，法布赞®的上市将打破这一治疗困局。

“脱乙酰基 GL-3 (Lyso-GL-3) 是评估法布雷病酶替代治疗疗效的敏感生物标记物，随着 GL-3 的贮积，法布雷病的早期症状会演变为危及生命的并发症。”上海交通大学医学院附属瑞金医院肾内科主任医师陈楠教授介绍道，“酶替代治疗 (ERT) 是法布雷病的特异性治疗方式之一，也是法布雷病治疗的基石。法布赞®作为国内唯一批准用于法布雷病特异性治疗的酶替代疗法，能够显著降低经典型法布雷病患者 Lyso-GL-3 水平，并显著减少患者肾心脑血管或死亡风险发生率，尤其对于儿童患者，可以有效改善疼痛症状。”



上海交通大学医学院附属瑞金医院肾内科主任医师陈楠教授

为生命礼赞，多方共助罕见病治疗可及性

为了帮助更多法布雷病患者获得规范治疗，提升治疗可及性，此次上市会上，赛诺菲携手中国初级卫生保健基金会正式启动了“生命礼赞”法布雷病患者援助项目。项目启动后，对于符合条件的年满 8 周岁的低收入患者，每连续使用 2 个月的法布赞[®]，则为其援助 1 个月免费治疗的法布赞[®]。

近年来，我国对罕见病的医疗和保障问题给予了高度重视，在提升罕见病药物可及性方面也在不断进行探索。2018 年，国家五部委联合发布《第一批罕见病目录》，法布雷病也包含在 121 种疾病之中，这被业内视为罕见病保障历史性的突破，国家规范罕见病诊疗、保障罕见病患者用药的步伐正在不断加快。

此前，全国政协委员、北京大学第一医院丁洁也提出呼吁，建议建立中国罕见病医疗保障“1+4”多方支付机制，丁洁表示：“随着我国罕见病整体工作的不断推进，药物可及性也在一步步地得到落实，提出‘1+4’多方支付机制是结合我国国情，希望建立健全我国罕见病医疗保障机制，并能在我国落地实施。其中，‘1’是核心，是指首先将第一批罕见病目录的相关药物逐步纳入国家基本用药目录。‘4’是理念，指统筹四个方面的工作，包括建立罕见病专项救助，建议可以国家和省级两级专项支持，由省级统筹；整合社会、慈善基金等资源；引进商业保险以及患者个人支付的多方共付机制。在这样一个多层面、多部门的协作机制下，罕见病的医疗保障才能够相对持久地开展下去。”



全国政协委员、北京大学第一医院丁洁

赛诺菲特药全球事业部中国区总经理王柏康表示：“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药物，今天，法布赞[®]的上市将打破法布雷病的治疗困局。未来，赛诺菲将继续深耕罕见病领域，以创新引领罕见病研发与诊疗，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，让中国的罕见病症患者可以走出阴影，过上有尊严的生活。”

关于赛诺菲中国

赛诺菲是一家全球领先的生物制药公司，专注人类健康。作为改革开放后首批进入中国的跨国企业之一，1982 年赛诺菲便在中国建立了办公室。赛诺菲中国的多元化业务覆盖了制药、人用疫苗和消费者保健。在中国，赛诺菲拥有 12 处办公室，4 大研发基地和 3 家生产基地，并有 9,000 余名员工遍及全国。赛诺菲致力于将创新药品和疫苗加速引进中国，领军数字化创新，从而满足最广大中国人民的健康需求。

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

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，并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，绽放生命

联系人

姓名：周荣蓉
电话：82-21-2226 6462
邮件：audrey.zhou@sanofi.com

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 2019 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。