

降低血友病患者致残率，国内首个长效重组凝血九因子赛玖凝®获批

2021年4月23日，中国上海 – 赛诺菲今天宣布中国国家药品监督管理局已批准注射用艾诺凝血素 α （即注射用重组人凝血因子 IX-Fc 融合蛋白，商品名：赛玖凝®，英文商品名 Alprolix®）用于确诊为成人和儿童 B 型血友病（先天性凝血因子 IX 缺乏）患者的控制出血、常规预防以及围手术期的出血管理。作为全球首个人重组凝血因子 IX Fc 融合蛋白（简称 rFIXFc），赛玖凝®显著延长凝血因子半衰期，降低患者注射次数^{1, 2}，尤其适合儿童预防治疗，促进靶关节恢复，能为血友病患者带来全面持久的止血保护。

临床急需，减少注射频次实现长期保护

血友病是一种罕见的隐性遗传性出血性疾病。我国血友病患者约有 3.8 万，其中 15%-20% 为 B 型血友病患者¹。B 型血友病患者因体内凝血因子 IX 缺乏或活性较低，终生面临严重出血风险。过去，要使 B 型血友病患者体内的凝血因子 IX 保持在一定水平就需每天输注 1 次凝血因子³。这对患者的依从性和预后效果带来极大挑战，因此临床急需能减少注射频率、提高患者依从性的治疗手段。

赛玖凝®通过 Fc 融合技术延长了 IX 因子的血浆半衰期及疗效持续时间，使得给药频率显著降低。常规预防治疗上，凝血因子每周数次的注射频次被降低到平均每周一次⁴。2019 年 5 月，赛玖凝®被国家药品监督管理局药品审评中心列入第二批临床急需境外新药名单。

中国医学科学院北京协和医学院血液病医院血栓与止血诊疗中心主任杨仁池教授指出，“赛玖凝®的获批，为我国 B 型血友病患者带来了长效止血模式。它在显著降低年化出血率（ABR）的同时可减少患者注射频率，且其年因子消耗量是目前市场上非长效重组因子的一半，可进一步节约医疗资源，减轻患者及家庭因频繁注射造成的疾病负担。”

两项多中心、开放性 III 期临床研究（B-LONG 和 Kids B-LONG）和一项拓展研究（B-YOND）显

1 Rath et al. Crit Rev Biotechnol 2015;35(2):235-54. (p. 240)

2 Bleeker et al. Blood 2001;98:3136-3142. (p. 3136-37).

3中华医学会血液学分会血栓与止血学组，中国血友病协作组. 血友病诊断与治疗中国专家共识（2017年版）[J]. 中华血液学杂志, 2017, 38（5）: 364- 370. DOI: 10.3760/cma.j.issn.0253- 2727.2017.05.002.

4 Buckley BC et al. Real-World Dosing and Patient Characteristics of rFIXFc in Hemophilia B Patients. Poster presented at the Academy of Managed Care Pharmacy Nexus Meeting. Orlando, FL, USA; Oct 26-29, 2015.

示：在预防出血方面，从每周接受传统重组 IX 因子（rFIX）预防治疗转换为赛玖凝®预防治疗的患者中，年化出血率（ABR）从 5.5 下降至 2.9，在个体化预防治疗中，赛玖凝®可将 ABR 降低 80%及以上^{5, 6, 7}，超过 1/3 使用赛玖凝®进行个体化预防治疗的患者实现零自发性出血^{5, 8}。在控制出血方面，数据显示在 80.8%的大型手术中，仅需单次注射赛玖凝®即可维持止血⁹。

儿童期预防治疗，有效降低致残率

血友病患者超过 90%的出血发生在关节¹⁰，常在儿童期起病¹¹。如若关节反复长期出血不仅可能致畸、致残，甚可危及生命。因此，血友病患者在儿童期进行预防治疗显得尤为重要。Kids B-LONG 研究显示：赛玖凝®在预防治疗上，不同年龄组患儿包括关节部位在内的年化自发出血率(AsBR)均为零¹²。

首都医科大学附属北京儿童医院血液肿瘤中心主任医师吴润晖教授认为，“赛玖凝®的获批丰富了 B 型血友病患者的预防治疗选择，利于减缓关节病变的进展，提高患者生活质量¹³。对于儿童血友病患者来说，其获益将更加明显，因为儿童期是血友病治疗的黄金时期，此时进行标准的预防治疗，可起到事半功倍的作用，有效降低致残率。”

赛诺菲大中华区总裁贺恩霆博士表示：“作为全球罕见病领域的领导者，赛诺菲很自豪将我们在中国的创新产品组合扩展到罕见血液病。赛玖凝®的获批将为血友病患儿带来全新的治疗选择，填补临床未被满足的需求。血友病在儿童期的预防治疗非常关键，我们将积极与各方携手努力，加速赛玖凝®尽快上市，惠及患者。”

5 Powell JS et al. N Engl J Med 2013;369:2313-23.

6 Pasi KJ et al. Thromb Haemost 2017;117(3):508-18.

7 Ragni M et al. 2018. Abstract submitted to the 70th Annual Meeting of the National Hemophilia Foundation. Orlando, FL, USA; Oct 11-13, 2018.

8 Fischer K et al. Lancet Haematol 2017;4(2):e75-82.

9 ALPROLIX Prescribing Information. 2018 Waltham, MA, USA. Bioverativ Therapeutics Inc.

10 Simpson ML and Valentino LA. Expert Rev Hematol 2012;5(4):459-68.

11 《儿童血友病诊疗规范》

12 Fischer K, et al. Lancet Haematol. 2017 Feb;4(2):e75-e82.

13 Srivastava A, et al. Haemophilia 2013;19(1):e1-47.

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，3家生产基地，4大研发基地和1个数字创新中心。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

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2020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。