

赛诺菲携 3 款罕见病新药亮相进博会： 为法布雷病、血友病及黏多糖贮积症患者带来新希望

2019 年 11 月 6 日，中国上海 – 全世界已知的罕见病约有 7000 种，但其中只有约 6% 的疾病有药可治。“去世前，希望能够用上一次药”是很多罕见病患者短暂生命中的唯一期盼。作为罕见病治疗领域的先行者和领导者，赛诺菲在第二届中国国际进口博览会上带来了三款罕见病领域的创新药物，以期助力中国法布雷病、B 型血友病及黏多糖贮积症 I 型患者直面健康挑战，绽放生命的希望。

先行探索，积极推动罕见病药物可及性

罕见病，又称孤儿病，是指发病率极低、患病总人数很少、且可能危及生命的疾病。在世界范围内，罕见病药物研发都是极大的科学挑战。由于患者人群少、市场需求少、药物研发周期和成本都较一般药物高。包括中国在内的绝大多数国家的患者，临床用药远远不能满足其治疗需求，致使许多罕见病患者无药可医。

虽然投入巨大，过程艰难，回报有限，但赛诺菲依然砥砺前行。在过去的 20 年里，赛诺菲凭借卓越的研发能力，坚持不懈地为中国罕见病患者提供创新产品，其中包括治疗戈谢病的思而赞®，治疗庞贝病的美而赞®，治疗肌萎缩侧索硬化的力如太®以及治疗多发性硬化的奥巴捷®。与此同时，赛诺菲还积极与社会各界合作，共同促进罕见病药物可及性，探索多元化的救助模式，为我国罕见病领域的迅速发展创造空间与可能。

展望未来，加速引入罕见病临床亟需新药

本届进博会上，赛诺菲带来了三款罕见病领域的新药，包括法布雷病治疗药物 Fabrazyme®、B 型血友病治疗药物 Alprolix®和黏多糖贮积症 I 型治疗药物 Aldurazyme®。

法布雷病是一种溶酶体贮积病，患者常常出现如烧灼般的疼痛，短则持续数分钟，长则数日之久，有时反复出现，严重时无法正常生活，并对肾、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威胁生命。Fabrazyme®是美国食品药品监督管理局（FDA）于 2003 年批准的美国首个治疗法布雷病的处方药物。

治疗药物的缺乏，导致了我国罕见病患者因病致残的现象较为普遍，他们中的大多数不得不与“轮椅”相伴一生。比如，血友病患者若能从儿童时期就进行预防性治疗，便能大大降低致残率。赛诺菲在进博会展出的另一款产品 Alprolix®有望填补我国 B 型血友病长效重组凝血因子的治疗空白。Alprolix®是 2014 年获 FDA 批准的首个 B 型血友病治疗药物，用于预防或减少患者出血，也是全球第一个长效重组凝血因子疗法药物。

黏多糖贮积症 I 型是一种溶酶体异常引起的遗传性黏多糖代谢障碍的罕见病，会引发生命威胁，如阻塞性气道疾病、呼吸道感染或累及心脏。Aldurazyme®于 2003 年获 FDA 批准，是首个用于治疗黏多糖贮积症 I 型的药物。

据了解，目前国内还没有针对法布雷病及黏多糖贮积症 I 型的特效药，患者的临床治疗需求亟需满足。赛诺菲中国新特药事业部罕见病领域负责人俞蕾表示：“进博会不仅是一个展现医疗创新的平台，更是一个面向公众科普疾病知识、传播科学治疗理念的重要窗口。我们希望借助本次进博会，让更多人了解罕见病。未来，赛诺菲也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获得更好的治疗，过上有尊严的生活。”

携手前行，共同实现罕见病患者的“中国梦”

近年来，国家对罕见病群体的重视度已日益提高，国务院、国家食药监总局先后发布了罕见病用药特殊审批、专门通道、优先审评、加快上市等的规定和实施措施。今年 2 月，在李克强总理组织召开国务院常务会议上指出要保障 2000 多万罕见病患者用药，并决定对 21 个罕见病药品减征增值税。

“罕见病患者的‘中国梦’无非是用得上药和用得起药。”上海市罕见病防治基金会理事长李定国教授指出，“在我国明确注册罕见病适应症的药物仅有 55 种，涉及《第一批罕见病目录》121 个罕见病病种中的 31 种，仍有 21 种罕见病在我国面临‘境外有药、境内无药’的状况¹。加速引入海外罕见病新药是保障罕见病患者用药的第一步，我国政府在加快罕见病用药上市方面取得了重大进展，只有让患者先‘有药可用’，我们才能协调多方共同破解‘用得起药’的难关，让罕见病患者的春天不再遥远。”

浙江省医学会罕见病分会候任主任委员谢俊明表示：“罕见病工作是一项重要的社会事务，需要社会多方的共同参与。近年来，国家针对罕见病接连出台了多项医疗惠民政策，使越来越多患者因此受益。未来，建议对于高值孤儿药予以财政托底，设立国家级罕见病保障专项基金，探索多方筹资保障模式。只有多方携手，共同努力才能让罕见病患者真正迎来新生。”

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。

¹ 2019 年《中国罕见病药物可及性报告》，黄如方，邵文斌

联系人

赛诺菲中国

姓名：周荣蓉

电话：86 21 22266462

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 2018 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。