

## 国际罕见病日：唱响生命赞“戈”

### 我国首部《戈谢病患者长期生存状况调查（2019）》出炉

- 以国内首个罕见病慈善援助项目的 130 余名患者真实世界数据为依托
- 报告显示，有 59%的戈谢病患者曾被误诊过，70%的戈谢病患者需要经过多家医院诊断才能确诊
- 戈谢病患者的疾病经济负担极重，经过赠药、报销后，经济负担降低了 94%
- 接受长期规范治疗后，戈谢病患者可以正常结婚生子、学习工作、回归社会

**2019年2月24日，中国北京** – 在第11个国际罕见病日即将到来之际，中国首个罕见病慈善援助项目：中华慈善总会思而赞慈善援助项目迎来了10周年庆典。会上我国首部《戈谢病患者长期生存状况调查（2019）》（以下简称：《生存调查》）正式发布。《生存调查》首次聚焦于我国戈谢病领域患者生活状况，依据思而赞慈善援助项目10年以来积累的戈谢病诊疗的真实世界数据，客观地反映了130余位戈谢病患者目前的生活状况。报告显示，戈谢病的误诊率高，确诊难，诊断时间长；慈善援助与医保报销明显降低了患者经济负担；大多数戈谢病患者在接受长期规范的治疗后，可以正常结婚生子、学习工作、回归社会，对于未来充满期望。

中华慈善总会常务副会长王树峰表示：“今年是思而赞慈善援助项目的10周年，也是中国戈谢病治疗的20周年。从《生存调查》中我们欣慰地看到项目中的患者不仅延续了生命，更以自身的价值来回馈社会。报告同时指出了戈谢病群体目前未被满足的需求。我们希望能继续和社会各界携手，使我国罕见病的整体诊疗水平得到提高，医疗制度进一步完善。”

## 10 年同舟，慈善项目助力新生

22 岁的晓希（化名）正在读大四，接近 170 的身高，开朗的性格让人不敢相信她是一名戈谢病患者。“我是三岁确诊的，当时身子很小肚子却很大，一直流鼻血，家里人就带着我去医院看病。”晓希回忆道。没想到，这一“看”就是几年，从南京，到上海，再到北京。终于，确诊了。晓希的父母却被告知，这是戈谢病，罕见病的一种，目前无法治愈，只能终身用药。

北京协和医院儿科的邱正庆教授介绍：“戈谢病是一种罕见遗传性的代谢疾病，患者体内缺乏葡糖脑苷脂酶，主要症状为生长发育落后，肝脾肿大，贫血，患者往往多器官功能损伤，甚至会危及生命。2/3 的戈谢病患者在儿童期发病。酶替代治疗是目前国内唯一经过批准的戈谢病特异性药物治疗手段。”不幸中的万幸是，因早在五岁多时晓希就开始接受伊米苷酶（思而赞®）的注射治疗，她的身高和外形都没有受到影响。正如《生存调查》中的其他患者一样，对于未来，她充满期待：“希望能去读硕士”。

项目推行 10 年以来，像晓希这样的患者还有 130 余名，他们经过项目内的持续治疗大都已重返正常生活。而他们的经历也让其他罕见病患者看到了希望。晓希说：“可以说这个项目改变了我的一生”。

## 廿念不忘：戈谢病领域 20 年巨变

戈谢病这个名字曾是邹正涛儿时的噩梦。2 岁时，邹正涛被确诊为戈谢病，发育受到严重影响，生命垂危。当时，国内对于戈谢病乃至罕见病的认知严重不足，整个北京记录在册的戈谢患者不过数例，整个中国没有任何治疗药物。1994 年，由赛诺菲研发的戈谢病治疗药物——注射用伊米苷酶（思而赞®）在美国上市。两年后，9 岁的邹正涛终于得到治疗。1999 年，赛诺菲与世界健康基金会合作，为包括邹正涛在内的戈谢病患者提供无偿药品援助，这一援助就是 20 年。这期间，几经辗转，项目合作方变更为中华慈善总会，2009 年，该项目正式更名为“思而赞慈善援助项目”。但自始至终，这个项目给予戈谢病患者的帮助一直在继续。

2009 年，思而赞®在中国上市，戈谢病不再是无药可治；2015 年，《中国戈谢病诊疗专家共识》出台，大大促进了戈谢病的规范化诊疗；2016 年，青岛模式、浙江模式等地方医保新模式让罕见病患者及家庭看到更多的希望；2018 年，国家五部委联合发布《第一批罕见病目录》，共有 121 种疾病被收录其中，这被业内视为罕见病保障历史性的突破；2019 年 2 月份，国务院总理李克强主持召开国务院常务会议，决定对罕见病药品给予增值税优惠；近日，国家卫生健康委签发了建立全国罕见病诊疗协作网的通知。

20 年来，无论是诊疗手段、社会认知及关注、还是国家政策等各方面，中国戈谢病在内的罕见病领域已发生翻天覆地的变化。而这些改变还将继续。

### **同心协力，谱写生命赞“戈”**

全国政协委员、北京大学第一医院儿科教授丁洁表示：“近年来，国家针对罕见病接连出台了多项医疗惠民政策，今年即将实施的罕见病药物减税政策更是有望进一步减轻罕见病患者用药负担。很高兴看到中华慈善总会援助下的戈谢病患者能够重回健康生活，但就罕见病的整体诊治而言，还有更多患者需要接受标准治疗，而罕见病药物制度和医疗保障体系的完善不能单靠企业和社会慈善组织的援助，需要建立以政府为主导，社会力量协助的新模式。”

赛诺菲中国副总裁、特药事业部总经理吴清漪女士说：“很高兴能与各方合作伙伴共同见证这一里程碑时刻。作为首批进入中国的跨国制药企业之一，同时又是罕见病领域的全球领先企业，赛诺菲不仅陪伴并见证了中国罕见病领域的发展，也非常感谢中国政府及各级合作伙伴的一路支持。未来，我们将继续努力，不仅推动更多高质量罕见病药品在中国上市，更与政府、学会及各方合作伙伴携手，为帮助更多患者实现‘病有所医’、‘医有所药’奉献我们的力量”。

## 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 9,600 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，并在苏州设有全球研究院。我们的研发专注于中国与全球的高发疾病，如肿瘤、免疫类疾病、代谢性疾病等。

如需了解更多信息，请访问 [www.sanofi.cn](http://www.sanofi.cn)，或关注“赛诺菲中国”微信公众号。

## 联系人

### 媒体关系

姓名：周荣蓉

电话：+86 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。