

执着开发罕见病药物并携多款“孤儿药”来到进博会 一只输液袋讲述一家药企的初心

本报记者 左妍

一个被设计成输液袋模样的巨型气球，高高飘浮在进博会武田制药的展台，吸引了众多目光。这个巨型输液袋，展现的是短肠综合征(SBS)患者被高频次、长时段输注所“束缚”的现状。

SBS是一种超罕见疾病，在中国尚无全国范围内确切的发病率统计数据，也缺乏有效的治疗药物，患者只能长期依赖肠外营养和静脉输注支持，生存质量堪忧。武田为什么要在进博会上展出这样一个输液袋？听完它背后的故事，你或许会了解一家生物制药企业执着于开发罕见病药物的初心。

■ 飘浮在武田制药展台上方
的巨型输液袋 本报记者 刘歆 摄

短肠综合征患儿 摆脱或减少输注“束缚”

“我的愿望是去学校上学！”4岁罕见病患儿果果(化名)的故事许多媒体都报道过。在做完两次肠道手术后，果果的小肠只剩下35厘米，被确诊为短肠综合征。严重依赖肠外营养的他每天都需要输注1200—1300ml的营养液，持续16个小时。

正常成人的小肠约有3至8.5米，而短肠综合征成人患者的小肠长度往往小于1.5米，儿童甚至只有几十厘米。在肠道手术后，几乎所有短肠综合征患者都将需要

肠外营养和静脉输注支持，尤其对于肠道适应不完全的患者，将终生需要肠外营养。对于儿童来说，不仅影响正常的生长发育，其产生的胆汁淤积、肠衰竭相关肝病和导管相关并发症都可能危及生命。

去年进博会上，武田展出了用于治疗短肠综合征的Teduglutide，该产品是目前全球首个也是唯一一款批准用于短肠综合征的人胰高血糖素样肽2(GLP-2)类似物，在美国、欧盟及日本部分国家和地区作为“孤儿药”获批。通过每日一次的皮下注射，肠外依赖的患者可以摆脱或减少肠外输注的“束缚”，改善生存质量。

今年5月，Teduglutide在海南医学院第

一附属医院乐城医院(铭慈博鳌国际医院)实现了紧急临床用药的落地应用。而根据乐城“带药离院”政策，经过充分评估后，患儿可以实现在原治疗地用药进行后续治疗，为家长照护提供了极大的便利。

“现在真的感觉‘轻舟已过万重山’。”果果妈妈感慨地说，孩子注射药物3个月后，极大地减少了输液时间，也减轻了照护压力。如今孩子日输液量减少了50%，体重增加2kg，身高也增长了2cm。“非常感谢国家的好政策，感谢新华医院小儿外科的蔡威主任及其团队医护老师的精心治疗和护理，让孩子能够率先用上创新药，有机会脱离肠外营养支持并恢复正常生活！”妈妈说。

批，让女儿能得到针对性的规范治疗。

近年来，武田制药在罕见病领域开启“加速模式”，每年进博会都带来多款罕见病药物。武田中国血友病及罕见病事业部负责人刘燕表示，期待通过进博会这一开放、包容、普惠、平衡以及共赢的平台，推动新药落地应用，加速为中国患者引进创新治疗方案。

纵观这几届进博会的医疗展区，越来越多的跨国药企带来罕见病新药。得益于进博会的巨大溢出效应，创新药物和突破性疗法在中国的审评审批及商业上市的速度大大提升，相信新药好药将会加速惠及中国患者，像果果、妮妮这样的患者，人生将因此而改变。

友病的注射用Vonicog alfa等。

在妈妈姚女士的记忆里，今年19岁的妮妮(化名)自打出生起，就因为鼻出血不得不常跑医院。十多年来辗转多家医院，不明原因的出血始终无法有效控制。直到2017年，通过基因检测，妮妮终于在上海交大附属瑞金医院被确诊为血管性血友病。

血管性血友病患者严重时会发生内脏出血，尤其是女性患者，每一次生理期都是一场生死搏斗，甚至需要切除子宫以保命。在发布会现场讨论环节，姚女士表示，女儿每逢生理期都不得不住院输血，甚至还注射过抑制生长发育的药物来推迟月经、避免出血。如今，她最大的期盼就是用于治疗血管性血友病的创新药物Vonicog alfa能尽快获

血管性血友病患者 期盼创新药早日获批

罕见病患人群少、市场需求少、药物研发成本高，因而很少有制药企业关注其治疗药物的研发。可以预防、治疗、诊断罕见病的药品，被形象地称为“孤儿药”。今年9月，国家卫生健康委联合6部委发布《第二批罕见病目录》，罕见病目录病种从121种增加至207种，这其中就包括短肠综合征以及血管性血友病等。武田制药此次还举办了一场罕见血液疾病领域专场发布会，由8款创新产品组成的“罕见血液疾病创新药家族”集体亮相，包括治疗血管性血

进博观察

因为进博，结缘中国

方翔

“进博会，我们又来了！”意大利百年贝雕家族Russo Cammei第四代继承人马可和贝雕大师齐洛，昨天出现在第六届进博会VEYIVER展台，兴奋之情溢于言表。这次他们不仅带来了众多的贝雕精品，还带来一位“小徒弟”——会讲中文的意大利人大卫。虽然是第一次来中国，但是这位意大利人已经学了四年中文，见到那么多热情的客人，兴奋地说：“我爱上海，我爱中国。”

国之交在于民相亲，民相亲在于心相通。进博会上，许多参展商来到上海的背后，几乎都有中国合作伙伴的身影，像在第三届进博会上，马可和齐洛为了参展，他们的中国合作伙伴蔡利锋专门进行了相关手续的申请。在中国合作伙伴的帮助下，像贝雕这样的小众商品，在进博会上打开了更广阔的市场。

除了能够迅速把展品变成商品，进博会还是让中小企业，特别是手工业者了解中国，乃至全球市场的重要窗口。就像是一个演员需要一个舞台，一个好产品也需要一个好的市场。进博会上，展商不仅会遇到中国的客户，更会发现全球的机遇。首届进博会上，孟加拉国特有的黄麻手工艺品大放异彩，此后的进博会上，黄麻手工艺品的品类不断增加。目前，孟加拉国的黄麻手工艺品不仅销往中国，而且借助中国的电商平台卖向全球。

进博会不仅是一座桥、一扇窗，也是一块“点金石”。不少其貌不扬的商品，在连续参加进博会之后，往往出现“质”的飞跃，像叙利亚古皂从简单几个品种，变化出了30余种香型；巴基斯坦商人从前几届进博会上盐灯热销得到启发，今年带来了骆驼皮灯……消费者反馈为参展商下一步的市场策略提供了参考。

“中国是一个神奇的地方，上海更是给我带来好运。”这是像马可这样的商人共同的心声。进博会不仅为他们打开了中国市场，让他们收获了大量的订单，更为他们提供了发力追赶的机会，并借助进博会分享世界发展的机遇。

马耳他金枪鱼进博会首秀

本报讯(记者 郭剑烽)昨天，国家会展中心(上海)5.2国家馆，来自马耳他的蓝鳍金枪鱼亮相第六届进博会，实现马耳他水产品在中国的首秀。

马耳他属于欧盟成员国，是闻名世界的旅游胜地，被誉为“欧洲后花园”。马耳他圣保罗湾是蓝鳍金枪鱼养殖基地，渔获主要用于出口。第六届进博会开幕前一个月，马耳他驻上海总领事馆联系上海海关，希望推动马耳他蓝鳍金枪鱼参展本届进博会，推动该产品的对华准入议程。

为保障马耳他蓝鳍金枪鱼顺利参展，上

海海关指定专人与马方对接，指导展商申请适用今年海关支持进博会的便利化新举措：“在评估确认风险可控的前提下，允许无动植物疫情流行国家(地区)未获检疫准入的动植物产品、食品，经特准审批后入境参展。”经过一整套安全便捷的监管服务流程，马耳他金枪鱼及时获得了海关总署授权发放的同意参展特准审批许可证。

第六届进博会上，除了马耳他金枪鱼，还有基里巴斯水产品、贝宁菠萝、阿富汗石榴等9个国家的44批动植物产品、食品首次入境参展。



■ 海关工作人员在国家会展中心(上海)国家馆对马耳他金枪鱼实施监管
陈兴洲 摄