

技術詞彙表

本詞彙表載有本文件所用與我們及我們的業務有關的若干技術詞彙的定義。該等釋義未必與標準行業釋義一致，亦可能不與其他公司採用的類似詞彙相似。

「軟骨發育不全」	指	軟骨發育不全，短肢型矮小症的一種，表現為骨骼生長異常，無法將軟骨（尤其是手臂和腿部的長骨）轉變為骨
「不良事件」	指	不良事件，指的是任何發生在患者或藥物臨床研究受試者身上的不利醫學事件，其並不一定同藥物治療有因果關係。因此，不良事件可為一種暫時與（試驗性）藥物使用有關的不利和意外體徵（包括異常的實驗檢查結果）、症狀或疾病（不論是否與（試驗性）藥物有關）
「AHV」	指	年生長速率
「ANCOVA」	指	協方差分析，一種用於測試分類變量對連續因變量的主效應及交互效應的方式，控制與因變量共變的所選其他連續變量的效應
「抗體」	指	對特定抗原產生反應並結合時產生的一種血液蛋白。抗體與人體識別為異物（例如細菌、病毒及血液中的外來物質）的物質以非化學方式相結合
「生物製品」	指	相對於以化學合成的小分子藥物而言，可通過生物技術方法及其他尖端技術生產的源自多種自然資源（人類、動物或微生物）的一類藥物製劑。生物製品可由糖、蛋白質或核酸或這些物質的複雜組合組成，亦可能為細胞及組織等生物體
「BLA」	指	生物製品上市申請，用於申請監管批准以將生物製品上市及商業化

技術詞彙表

「藥審中心」	指	國家藥品監督管理局藥品審評中心，為國家藥監局的分支機構，主要負責IND及NDA的審批
「臨床試驗」或「臨床研究」	指	旨在發現或驗證研究產品的臨床、藥理學及／或其他藥效動力學作用，及／或確定其任何不良反應，及／或研究其吸收、分佈、代謝和排泄，以確定其安全性及／或療效的任何針對人類受試者的研究
「C _{max} 」	指	最高或峰值血液／血漿濃度
「CMC」	指	藥品開發、許可、生產及持續營銷中的化學、生產及控制過程
「CNP」	指	C型利鈉肽，利鈉肽軸的旁分泌元素，補充了心房利鈉肽及腦鈉肽的內分泌作用
「隊列」	指	在流行病學中指有共同經歷或有共同狀態的一群人
「核心產品」	指	我們的「核心產品」(定義見《上市規則》第十八A章)，即隆培促生長素(lonapegsomatropin)
「CRO」	指	合同研究組織，一家以外包研究服務合同方式向製藥、生物技術及醫療器械行業提供支持的公司
「CSO」	指	合同銷售組織，一家根據與製藥或生物技術公司簽訂的合同，提供與藥品營銷和銷售活動有關的各類服務和解決方案的公司
「終點」	指	就臨床研究或試驗而言，所測得的結局無論是指發生疾病、症狀、體徵或是實驗室異常，均構成目標結局，在此情況下，結局術語(如「臨床緩解終點」或「維持治療終點」)將優先於「終點」

技術詞彙表

「FGFR3」	指	成纖維細胞生長因子受體3。FGFR3基因是一種產生蛋白質的基因，這種蛋白質參與細胞分裂、細胞成熟、新血管形成、傷口癒合以及骨骼的生長、發育及維持。FGFR3基因突變可能會導致FGFR3蛋白質在若干骨骼疾病、遺傳性疾病及癌症中過渡活躍
「GAMA」	指	政府事務和市場准入
「GCP」	指	是臨床試驗設計、實施、執行、監查、稽查、記錄、分析和報告的標準，目的為確保數據和所報告結果的可信性和準確性，並確保受試者的權利、完整性和機密性得到保護
「生長激素缺乏症」	指	生長激素缺乏症，一種因人體生長激素不足引起的疾病
「GLP」	指	藥物非臨床研究質量管理規範，針對管理控制研究實驗室及組織的質量體系，以確保處於開發階段的產品對人類或動物健康的一致性、連貫性、可靠性、重複性、質量及完整性
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範，確保根據質量標準持續生產及控制產品的系統，旨在盡量降低任何藥品生產中無法通過最終產品測試消除的風險
「人生長激素」	指	人生長激素，一種由腦垂體構成並分泌至血流的小型蛋白，人生長激素的產生由大腦下丘腦、腸道及胰腺中產生的一系列複雜的激素控制
「內穩態」	指	人體生存及正常功能所需的所有人體系統之間的一種平衡狀態。在內穩態狀態下，體內的酸、血壓、血糖、電解質、能量、激素、氧氣、蛋白質以及溫度水平經持續調整以應對體內及體外的變化，以使其保持在正常水平

技術詞彙表

「甲狀旁腺功能減退症」	指	甲狀旁腺功能減退症，一種由甲狀旁腺激素分泌不足或功能缺陷所引起的鈣磷代謝異常綜合症
「IGF-1」	指	胰島素樣生長因子-1，一種胰島素樣生長因子（為人體產生的蛋白，能刺激多種類型的細胞生長）的形態。胰島素樣生長因子與胰島素（一種於胰腺中產生的激素）相似
「IND」	指	試驗性新藥或試驗性新藥申請，在中國亦稱為臨床試驗申請
「國際非專利名稱」	指	國際非專利名稱，標識藥用物質或活性藥物成分。每個國際非專利名稱均為唯一名稱，為全球所承認，屬於公共財產
「適應症」	指	適用於特定預防、診斷或者藥物的某種已知疾病或狀態／症狀
「LAGH」	指	長效生長激素
「多次劑量遞增試驗」	指	多次給藥劑量遞增是獲得藥物耐受性數據的研究，一般在完成藥物首次進入人體的單次給藥劑量遞增試驗後開展，旨在確定人體多次給藥的最大耐受劑量
「MAA」	指	上市授權申請，向歐洲監管機構提出批准藥品在歐盟上市的申請
「作用機制」	指	作用機制，在藥理學中，指原料藥通過特定的生化作用產生藥理作用。作用機制通常包括提及藥物結合的特定分子靶點，例如酶或受體

技術詞彙表

「NPR-B受體」	指	利鈉肽受體B，一種於人體第九號染色體上編碼，由CNP激活的鳥苷酸環化酶受體。其在大腦、心臟、骨骼、卵巢以及肺部中高水平表達
「NPR-C受體」	指	利鈉肽受體C，一種通過抑制性鳥嘌呤核苷酸調節蛋白與腺苷酸環化酶抑制劑或磷脂酶C活化偶聯的非鳥苷酸環化酶受體
「開放標籤擴展研究」	指	開放標籤擴展研究，一種通常在新藥的雙盲隨機安慰劑對照試驗之後進行的臨床研究，研究的主要目的是收集有關長期及日常使用新藥的安全性及耐受性的資料
「p」或「p值」	指	就臨床試驗或研究而言，在零假設（即無效假設，假設所調查的因素或特徵之間並無關聯）屬實的情況下，取得的結果與在生物或臨床試驗或隊列研究中實際觀察到的結果至少同樣極端的概率。倘兩個或多個變量之間的關係不因偶然因素而產生（因此拒絕無效假設），則結果被視作「具有統計學意義」，而「臨床意義」為治療效果的實際重要性，即是否對日常生活有真實、明顯及顯著作用
「聚乙二醇」	指	聚乙二醇，一種由環氧乙烷與水逐步聚合而成的聚合物。聚乙二醇可以是液體或蠟狀固體
「聚乙二醇化」	指	聚乙二醇鏈與蛋白質（治療性蛋白質）、多肽或任何分子結合的過程，其生成的物質被「聚乙二醇化」。通過聚乙二醇化過程，治療性蛋白質的分子量增加。因此，其保護治療性蛋白質不受蛋白水解酶和蛋白質降解的影響
「PGHD」	指	兒童生長激素缺乏症

技術詞彙表

「藥效動力學」	指	對藥物如何在機體發揮作用的研究，其與藥代動力學共同影響藥物的給藥劑量、藥效與不良反應
「藥代動力學」	指	在整個暴露期間，研究身體如何與注射的物質相互作用。該領域通常檢查的4個主要參數包括吸收、分佈、代謝和排泄(ADME)
「1期」	指	通常為早期臨床研究時的人體藥理試驗，在此階段試驗藥物首次用於人體給藥。這些研究可在健康志願者中進行，也可在受累於某種狀況或疾病的患者群體中進行，取決於藥物特性和研發計劃的目的。此類研究通常擬用於解決以下一個或多個方面的問題：初步安全性和耐受性評估、藥代動力學、藥效動力學與藥物活性的早期測定
「2期」	指	為探索性研究，旨在考察藥物在特定患者群體中的安全性和有效性。此外，探索性研究的目的是在於提煉有效劑量和治療方案，細化目標人群的定義，確保藥物安全性特徵的穩健性，並包括對後續研究中採納的潛在研究終點的評價。探索性研究可提供有關識別和確定影響治療效果因素的資料，並結合建模與模擬，有助於支持隨後的確證性研究設計
「3期」	指	也稱為確證性研究，旨在確認早期臨床研究中積累的關於藥物在擬定用途和用藥人群中的安全性和有效性的初步證據。確證性研究通常旨在為藥物上市批准提供充分的依據，並為藥物的使用和官方公佈的藥物信息提供充分的說明

技術詞彙表

「關鍵試驗」或「關鍵研究」	指	用於證明新藥的療效以獲得監管機構上市批准的臨床研究
「群體藥代動力學」	指	群體藥代動力學，群體藥代動力學分析是一種成熟的定量方法，可定量和解釋個體間藥物濃度的變異性
「臨床前研究」	指	亦稱非臨床研究。非臨床評估通常包括毒理學、致癌性、免疫原性、藥理學、藥代動力學及其他評估，以支持臨床研究（並可能包括於體內及體外模型中以及通過建模及模擬產生的證據）
「主要終點」	指	就臨床研究或試驗而言，在研究結束時測量的主要預設結果（例如，死亡人數或治療組與對照組之間的存活率差異）
「PRO」	指	患者報告結局
「甲狀旁腺激素」	指	甲狀旁腺激素，一種於甲狀旁腺內合成並裂解為一種活性形式的多肽
「受體」	指	對特定信號（例如神經遞質、激素、抗原或其他物質）有特殊反應的組織區域或細胞膜分子。「受體調節劑」或「選擇性受體調節劑」(SRM)是一款在不同組織中具有不同作用的藥物，原因是其在部分組織中可能充當激動劑，而在其他組織中則充當拮抗劑
「腎臟的」	指	腎臟或與腎臟有關，如腎盂癌
「單次劑量遞增試驗」	指	單次給藥劑量遞增（單次劑量遞增試驗），藥物首次進入人體時，以最大推薦起始劑量(MRSD)作為臨床給藥的起始劑量，並以單次給藥形式逐步增加劑量，從而獲得人體最大耐受劑量的研究

技術詞彙表

「嚴重不良事件」	指	嚴重不良事件，在任何劑量下發生的任何不良醫學事件：導致死亡、危及生命、需要住院或延長當前住院時間、導致永久性或重大殘疾／失能，或先天性異常／出生缺陷
「標準差評分」	指	標準差評分(SDS)
「次要終點」	指	就臨床研究或試驗而言，指評價的次要目標。例如，一款旨在預防過敏相關死亡的藥物亦可能可以衡量生命質量是否得到改善
「SMO」	指	臨床機構管理組織，為以合同方式向研究申辦方、CRO或臨床研究者提供臨床試驗相關服務的組織
「標準治療」	指	獲醫學專家接納作為適當治療某種疾病且已被醫療專業人士廣泛使用的治療方法，亦稱為最佳醫療常規、標準醫療護理及標準治療
「治療後出現的不良事件」	指	治療後出現的不良事件，即一種於治療前不存在但在治療期間出現的不良事件，或相較於治療前狀況惡化的不良事件
「耐受性」	指	患者可以耐受藥物的明顯不良事件的程度。特定藥物的耐受性可以從一般意義上進行討論，或可作為臨床研究的一部分進行量化