

技術詞彙表

於本文件內，除文義另有所指外，本文件所用有關本公司及我們業務的若干詞彙的解釋及定義應具有以下涵義。該等詞彙及其涵義未必總會與該等詞彙的標準行業涵義或用法一致。

「95% CI」	指	95% 置信區間，一個可根據樣本數據採用95% 概率估計真實總體參數所在位置的統計範圍
「ADC」	指	抗體偶聯藥物，一類生物製藥藥物，包含通過化學連接子與有效載荷分子（通常是細胞毒劑）偶聯的抗體
「ADCC」	指	抗體依賴性細胞介導的細胞毒性或抗體依賴性細胞毒性，一種細胞介導的免疫防禦機制，藉此免疫系統的效應細胞主動溶解靶細胞，而靶細胞的膜表面抗原已被特異性抗體結合
「ADCP」	指	抗體依賴性細胞介導的吞噬作用，一種細胞介導的免疫防禦機制，其中抗體與靶細胞結合，致使靶細胞被吞噬細胞吞噬及破壞
「AE」	指	不良事件（可分為輕度、中度或重度），在臨床試驗期間接受藥物或其他藥品的患者或受試者出現的任何不良醫療事件，且不一定與治療有因果關係
「AI」	指	芳香化酶抑制劑，一種可阻斷將雄激素轉化成雌激素的芳香化酶的藥物，主要用於治療HR+乳腺癌
「ALK」	指	間變性淋巴瘤激酶，一種受體酪氨酸激酶，當通過基因重排或突變異常激活時可促進癌症發展

技術詞彙表

「AXL」	指	anexelekto，一種受體酪氨酸激酶，可參與一系列跨膜信號處理並調節眾多生理過程，包括細胞生存、增殖、分化及免疫應答
「乳腺癌」	指	乳腺癌
「BICR」	指	盲態獨立中心審核，一種臨床試驗方法，在試驗中獨立審核人員在不知道療法分配的情況下評估結果以盡可能減少偏差
「生物利用度」	指	達到體循環的給藥劑量的分數，為藥物的主要藥代動力學特性之一
「雙特異性ADC」	指	一種新型ADC，其有效載荷分子與賦予針對兩種不同抗原的靶向能力的雙特異性抗體偶聯
「雙特異性抗體」	指	將兩個抗原識別元件組合成單一構建體的抗體，能夠同時結合兩個不同的抗原
「腦轉移」	指	已從身體其他部位的原發性癌擴散（轉移）至腦部的癌性腫瘤
「BRCA」	指	乳腺癌易感基因，其中有兩種類型（即BRCA1和BRCA2）。BRCA基因是抑癌基因，可編碼負責修復DNA的蛋白質。有害的BRCA突變會增加患乳腺癌和卵巢癌等各種癌症的風險
「CADD」	指	計算機輔助藥物設計，使用計算機（工作站）來輔助創造、修改、分析或優化新型化合物或生物製劑
「複合年增長率」	指	複合年增長率

技術詞彙表

「CBR」	指	臨床獲益率，在抗腫瘤藥物的臨床試驗中接受治療干預時達到完全緩解、部分緩解或病情穩定的患者的百分比
「CD80」	指	分化簇80，在抗原遞呈細胞上表達的跨膜蛋白，通過與T細胞上的CD28或CTLA-4結合充當共刺激分子，在T細胞活化及免疫應答調節中發揮關鍵作用
「CDK4/6」	指	細胞週期蛋白依賴性激酶4/6，與細胞週期蛋白D共同作用使視網膜母細胞瘤蛋白磷酸化的蛋白激酶，促進細胞週期由G1期進展至S期
「CDMO」	指	合同開發生產組織，按合同為其他製藥公司開發和生產藥品的製藥公司
「化療」	指	使用細胞毒性化學物質殺死患者體內快速生長的細胞的藥物治療，因癌細胞的生長和繁殖速度比體內大多數細胞快很多，最常用於癌症治療
「隊列」	指	參與臨床研究的一組患者，彼等在特定時期內出現共同的特徵或體驗，並長時間受到監測
「聯合療法」	指	使用不止一種藥物或方式的治療
「CRO」	指	合同研究組織，根據合同以研究服務外包的形式為製藥、生物技術及醫療器械行業提供支持的公司
「CTLA-4」	指	細胞毒性T淋巴細胞相關蛋白4，一種在所有T細胞表達的蛋白質，可作為下調免疫應答的免疫檢查點，為腫瘤細胞通常用來逃避抗腫瘤免疫應答的其中一個免疫檢查點

技術詞彙表

「CYP」	指	細胞色素P450，主要存在於肝細胞的酶家族，在代謝藥物、毒素及體內其他物質中發揮關鍵作用
「CYP2C19」	指	細胞色素P450 2C19，一種細胞色素P450家族中的特異性酶，可代謝幾種重要藥物，包括質子泵抑制劑、抗抑鬱藥及氯吡格雷
「DCR」	指	疾病控制率，對治療有緩解的患者的總比例，等於完全緩解、部分緩解和病情穩定的總和
「DDI」	指	藥物相互作用，在兩種或以上藥物相互作用時發生，有可能改變彼等的療效或增加出現不良反應的風險
「DDR」	指	DNA損傷應答，一種檢測和修復DNA損傷來保持基因組穩定性及防止突變的細胞機制
「消化系統疾病」	指	與消化系統相關的健康狀況
「DLT」	指	劑量限制性毒性，藥物或其他療法的副作用，可嚴重到阻止增加該治療藥物用於臨床試驗的劑量
「DNA-PK」	指	DNA依賴性蛋白激酶，一種核絲氨酸／蘇氨酸蛋白激酶，在通過非同源末端連接通路進行DNA雙鏈斷裂修復中發揮關鍵作用
「DoR」	指	緩解持續時間，腫瘤持續對治療產生反應而癌症未生長或擴散的時間長度
「劑量遞增」	指	臨床試驗的一個階段，在該階段中，不同人群的藥物劑量逐漸增加，以確定最大耐受劑量
「劑量擴展」	指	一種入組更多參與者的試驗，以進一步評估選定劑量的安全性及初步療效

技術詞彙表

「雙盲」	指	就臨床試驗或研究而言，參與者以及進行研究的人員或實體均不知道誰將接受某種治療的臨床試驗或研究。該程序用於防止研究結果出現偏差
「十二指腸潰瘍」	指	十二指腸潰瘍，形成於十二指腸（小腸前段）黏膜的潰瘍
「FAS」	指	全分析集，臨床試驗的受試者集，最接近將所有隨機受試者按意向性治療原則包括在內的理想方案集
「一線」	指	就任何疾病而言，一線治療，即醫療機構普遍接受的用於初始治療的治療方案，也被稱為初始治療或初始療法
「FXR」	指	法尼醇X受體，一種主要在肝腸中表達的核受體，可作為膽汁酸傳感器，調節膽汁酸合成、脂質和糖代謝，並維持代謝平衡
「頭對頭試驗」	指	一種將兩種療法直接相互比較的臨床試驗。在有多種治療方案可用的情況下，其用於確定該等治療之間的比較效果
「HER2」	指	人類表皮生長因子受體2，其過度表達促進乳腺癌、胃癌、結直腸癌等多種癌症的發展
「HR」	指	激素受體
「IND」	指	研究用新藥或研究用新藥申請，在中國或美國亦被稱為臨床試驗申請
「IND準備」	指	準備必要的臨床前數據及文檔以支持向FDA、EMA或國家藥監局提交的研究用新藥申請的過程

技術詞彙表

「體外」	指	拉丁語中為「玻璃內」的意思，指使用已脫離其慣常所在生物環境的生物體成分（例如微生物、細胞或生物分子）進行研究
「體內」	指	拉丁語中為「活體內」的意思，體內研究乃在完整且存活生物體（包括動物、人類及植物）內測試對不同生物實體或化學物質的反應，而並非以部分或死亡生物體進行測試，亦非在體外進行測試
「ITT」	指	意向性治療，一種臨床試驗分析方法，在該方法中，所有參與者均按照其初始療法分配進行分析，不論其是否完成了研究方案或接受了治療
「重點監控目錄」	指	中國的一個藥品目錄，要求特別監控和合理使用管理，由中國國家衛生健康委員會確立以促進適當用藥及控制醫療保健費用
「KHK」	指	酮己糖激酶，一種參與果糖代謝的酶，在碳水化合物代謝中發揮作用
「激酶」	指	一種催化磷酸基團從含有磷酸的高能分子轉移到特定底物的酶。絕大多數激酶為蛋白激酶。蛋白激酶作用於蛋白質，使該等蛋白質在絲氨酸、蘇氨酸、酪氨酸或組氨酸殘基上磷酸化。該等激酶在蛋白質及酶調控以及發出細胞信號方面發揮重要作用
「KOL」	指	具有相關領域專業產品知識及影響的關鍵意見領袖、影響者及值得信賴的人，在中國新興行業及業務（包括生物技術／藥物行業）中發揮重要作用
「MDA-MB-436」	指	源自胸腔積液的人類TNBC細胞系，具有BRCA1突變的特點，通常用於乳腺癌研究及藥物開發研究

技術詞彙表

「MMAE」	指	一甲基澳瑞他汀E，一種高效且通常用作ADC中的細胞毒素有效載荷的合成抗有絲分裂劑。其通過破壞微管裝配發揮作用，導致細胞死亡
「單藥治療」	指	使用單一藥物治療一種疾病或病症的治療
「MTD」	指	最大耐受劑量，不會引起不可接受的副作用的藥物或治療的最高劑量
「NASH」或「MASH」	指	非酒精性脂肪性肝炎或代謝功能障礙相關脂肪性肝炎，肝臟脂肪積聚引起的肝臟炎症及損傷
「NDA」	指	新藥申請
「中性粒細胞減少症」	指	一種特徵為血液中中性粒細胞（最為重要的白血球類）數量過低的血液紊亂病症
「NSCLC」	指	非小細胞肺癌
「腫瘤學」	指	治療腫瘤的醫學分支，包括研究腫瘤的發生、診斷、治療及預防
「開放標籤」	指	一種研究人員和參與者都知道將進行何種治療的臨床試驗，即非盲
「ORR」	指	客觀緩解率，對治療有完全緩解或部分緩解的患者比例
「OS」	指	總生存期，自診斷日期或開始治療起確診疾病患者仍存活的時長，臨床試驗中用於測量藥物的有效性
「OSR」	指	總生存率

技術詞彙表

「PARP」	指	多聚ADP核糖聚合酶，一個酶家族，PARP1為最豐富及特徵明顯的成員，主要參與DNA複製和轉錄調節，在細胞存活中對DNA損傷發揮重要作用
「PARP1/2抑制劑」	指	有選擇性地阻斷PARP1和PARP2的酶活性，從而利用有缺陷的同源重組修復通路阻止DNA修復並導致合成致死細胞的小分子藥物
「PD」	指	藥效動力學，對藥物的分子、生化和生理效應或作用的研究
「PD-1」	指	程序性細胞死亡蛋白1，一種於T細胞、B細胞及巨噬細胞上表達的免疫檢查點受體
「PDE5」	指	5型磷酸二酯酶，一種分解平滑肌細胞中的環磷酸鳥苷並由用於治療勃起功能障礙及肺動脈高壓的藥物靶向的酶
「PD-L1」	指	PD-1配體1，一種位於正常細胞或癌細胞表面上的蛋白，於T細胞表面上與其受體PD-1結合，導致T細胞發生免疫抑制
「PFS」	指	無進展生存期，患者在治療疾病期間和之後病情並未惡化的時長
「I期臨床試驗」	指	研究對健康人類受試者或患有目標疾病或病症的患者給藥，測試安全性、劑量耐受性、吸收、代謝、分佈、排洩，並在可能情況下了解其早期藥效
「II期臨床試驗」	指	研究對有限的患者群體給藥，以確定可能的不良反應及安全風險，初步評價該產品對特定目標疾病的療效，並確定劑量耐受性及最佳劑量

技術詞彙表

「III期臨床試驗」	指	研究在具有適當對照的臨床試驗中對更大的患者群體進行給藥，一般在地域分散的多個臨床試驗地點開展，以生成充足數據在統計學上評估產品的療效及安全性以獲批准，並為產品標籤提供充分信息
「PI」	指	主要研究者，負責設計、開展及監督臨床試驗的主要研究人員
「關鍵試驗」	指	在提交藥物上市批准申請前，為證明臨床療效及提供安全性證據而進行的臨床試驗或研究
「PK」	指	藥代動力學，動物或人體對藥物吸收的速度及完全程度，以及藥物在動物或人體中的分佈、代謝和排泄的測量
「pKa」	指	酸解離常數的負對數，其測量溶液中酸的強度
「安慰劑對照」	指	用於描述研究方法的術語，給予一組參與者無活性物質（安慰劑），而給予另一組測試中的治療方案（通常為藥物或疫苗），然後對比兩組取得的結果，以確定研究性治療是否較安慰劑更有效
「PPI」	指	質子泵抑制劑，通過阻斷胃壁細胞中的氫離子／鉀離子ATP酶系統減少胃酸產生的藥物，主要用於治療酸相關消化系統疾病
「PPS」	指	符合方案集，受試者在沒有重大方案偏差的情況下完成研究且完全按計劃接受治療的臨床試驗受試者集
「PR」	指	部分緩解，根據《實體瘤療效評價標準》(RECIST)，此乃指腫瘤大小或體內癌症嚴重程度隨著治療縮小至少30%但低於100%

技術詞彙表

「消化性潰瘍」	指	消化性潰瘍，形成於胃（胃潰瘍）或十二指腸（十二指腸潰瘍）黏膜的瘡口
「放療」	指	使用高劑量輻射殺死或損傷癌細胞的一種癌症治療方法，旨在使腫瘤縮小並減輕症狀
「反流性食管炎」	指	反流性食管炎，胃酸和消化酶反覆倒流至食管引起的炎症和食管黏膜損傷
「ROS1」	指	一種在各種腫瘤細胞中高表達的受體酪氨酸激酶（由ROS1基因編碼）
「RP2D」	指	建議II期劑量，為II期臨床試驗選擇的最佳劑量水平，習慣上根據劑量限制性毒性(DLT)釐定。對於分子靶向藥物(MTA)，RP2D可利用包括毒性特徵、生物學終點（如藥代動力學及藥效動力學）在內的多項參數及初步療效數據確定。儘管在第一個治療週期RP2D常與20-33%的DLT率有關，但其未必是最大耐受劑量(MTD)，尤其是對靶向治療而言
「SAE」	指	嚴重不良事件，任何劑量的人體藥物試驗中的任何醫療事件：導致死亡；有生命危險；需要住院治療或導致現有住院時間延長；導致持續或嚴重殘疾／能力喪失；可能導致先天性異常／出生缺陷，或需要干預以防止永久損傷或損害
「SBDD」	指	基於結構的藥物設計，一種利用生物學靶點的三維結構信息設計及優化可特異性結合並調節其功能的潛在藥物分子的藥物發現方法
「SD」	指	病情穩定。根據RECIST，在腫瘤學中，此乃指腫瘤大小或體內癌症嚴重程度隨著治療既未縮小至少30%亦未擴大至少20%

技術詞彙表

「實體瘤」	指	組織的異常腫塊，通常不包含囊腫或液體區。實體瘤可能是良性（不是癌症）或惡性（癌症）。不同類型的實體瘤以其形成的細胞類型命名。實體瘤的例子有肉瘤（結締組織產生的腫瘤）、癌（上皮組織產生的腫瘤）及淋巴瘤（淋巴系統產生的腫瘤）。白血病（血癌）通常不會形成實體瘤
「SS」	指	安全性分析集，受試者接受至少一劑研究藥物的臨床試驗受試者集
「協同作用」	指	兩款或多款藥物的相互作用，可使該等藥物的總療效大於每種藥物個別療效的總和，而這可能是有益的也可能是有害的
「T細胞」	指	由胸腺產生或發育的一類淋巴細胞，積極參與免疫應答，在細胞介導的免疫中起核心作用。T細胞通過細胞表面存在的T細胞受體區別於其他淋巴細胞（如B細胞及NK細胞）
「TEAE」	指	治療中出現的不良事件，即在研究藥物治療開始後發生的不良事件或在研究藥物治療前發生但在研究藥物治療開始後嚴重程度增加的不良事件
「TNBC」	指	三陰性乳腺癌
「TRAE」	指	治療相關的不良事件，為研究者認為在合理可能性下可能由研究藥物引起的不良事件
「USP1」	指	泛素特異性蛋白酶1，一種可消除靶蛋白上泛素標記的去泛素化酶，在DNA損傷應答及修復通路中發揮關鍵作用

技術詞彙表

「帶量採購計劃」	指	帶量採購計劃，中國實施的一套藥物採購法規，旨在推廣仿製替代品及降低已過專營期藥品的價格
「異種移植模型」	指	一種人腫瘤組織或癌細胞移植入免疫缺陷小鼠的實驗模型，用於在與人類癌症發展情況相若的生命系統中研究癌症生物學、評估藥物反應並測試潛在治療方法