

技術詞彙表

本技術詞彙表載有本文件所用的有關本公司及我們業務的若干詞彙定義。該等詞彙及其涵義未必總是與該等詞彙的標準行業涵義或用法相符，且未必能直接與在本公司所處相同行業內經營的其他公司所採用的名稱類似的詞彙進行比較。

「ADC」	指	抗體藥物偶聯物，一類生物製藥藥物，結合了針對特定腫瘤細胞表面抗原的單克隆抗體和通過化學連接物連接的強效抗腫瘤小分子製劑
「ADCC」	指	一種免疫機制，通過該機制，攜帶Fc gamma受體的效應細胞可以通過抗體結合作用殺死在其表面表達腫瘤或病原體衍生抗原的靶細胞
「不良事件」	指	不良事件，可能是輕度、中度或重度，即患者在臨床試驗期間服用藥物或其他藥品時出現的任何不良醫療事件，且未必與治療有因果關係
「親和力」	指	藥物在任何給定藥物濃度下與受體結合的程度或分數，或藥物與受體結合的牢固程度。親和力描述了兩種化學物質，或抗原和抗體之間的吸引力強度
「年齡相關性黃斑變性」或「AMD」	指	因視網膜色素上皮和神經元視網膜的退行性病變引起的部分或完全視力喪失的不可逆轉的醫學狀況
「AMP」	指	細胞外單磷酸腺苷
「貧血」	指	體內健康紅細胞不足的情況
「ANG-2」	指	在新血管形成(血管生成)及炎症中發揮關鍵作用的蛋白質。其作為VEGF依賴性血管生成的促進劑，可破壞現有血管的穩定性，在腫瘤生長、炎症及某些疾病(如糖尿病視網膜病變、敗血症及癌症)等過程中具有重要意義。其活性複雜且取決於具體環境，有時作為另一種蛋白質血管生成素-1的拮抗劑
「抗原」	指	通過激活淋巴細胞刺激免疫應答的分子

技術詞彙表

「ASCO」	指	美國臨床腫瘤學會
「天冬氨酸氨基轉移酶」	指	一種用來判定肝功能的酶
「測定」	指	為確定(i)某種物質的存在及該物質的含量及(ii)藥物的生物學或藥理學效力而進行的分析
「ATP」	指	三磷酸腺苷
「自身免疫性疾病」	指	一類慢性醫學疾病，身體免疫系統功能失調，錯誤地攻擊自身健康的細胞、組織或器官，導致炎症、組織損傷及器官功能受損，包括類風濕性關節炎、系統性紅斑狼瘡及牛皮癬等代表性疾病
「雙特異性抗體」或「bsAb」	指	含有兩個不同靶點結合位點或靶點表位結合位點的抗體
「BLA」	指	生物製品許可申請
「BOR」	指	最佳反應，試驗治療開始到治療結束期間錄得的最佳反應，當中計及任何確認的要求
「BTC」	指	膽管癌
「年複合增長率」	指	年複合增長率
「CAR-T」	指	一種適應性細胞療法，通過導入能特異性識別腫瘤細胞上靶抗原的嵌合抗原受體(CAR)在體外改造患者自身的T細胞，使T細胞能夠主動定位及攻擊腫瘤細胞，主要用於治療某些血液系統惡性腫瘤及實體瘤
「CD47」	指	分化簇47，又稱整合素相關蛋白，是一種為巨噬細胞提供「別吃我」信號的膜蛋白
「CD73」	指	一種具有酶促及非催化功能的蛋白質，在多種腫瘤類型中廣泛表達，通過酶促方式將AMP轉化為腫瘤微環境中的免疫抑制性腺苷，使腫瘤免疫逃逸，與乳腺癌、胃癌及肺癌等癌症的不良預後相關，是用於阻斷其功能以恢復抗腫瘤免疫力的抗體的泛癌症靶點

技術詞彙表

「CD8」	指	一種在某些免疫細胞表面表達的糖蛋白，主要在細胞毒性T淋巴細胞上表達，在識別抗原呈遞細胞及介導殺死病毒感染細胞或腫瘤細胞方面發揮關鍵作用，其陽性淋巴細胞對抗腫瘤免疫至關重要（正如ragistomig的臨床前研究所示）
「CDC」	指	一種由抗體包被的靶細胞招募並激活補體級聯反應成分，導致細胞表面形成膜攻擊複合物並隨後導致細胞裂解的機制
「CDMO」	指	合同開發和製造組織，指依據合同為其他製藥公司開發和製造藥物的製藥公司
「cGMP」	指	現行藥品生產質量管理規範，一種確保現行產品按照質量標準持續生產及控制的體系，旨在最大限度地降低任何無法通過測試最終產品消除的藥品生產中涉及的風險。其亦為符合控制藥品製造及銷售授權及許可的機構所建議的指南所需的規範
「化療」	指	一類使用一種或多種抗癌化療劑作為其標準化療法一部分的癌症治療
「CLDN18.2」	指	一種具有腫瘤特異性表達的特定蛋白質，主要存在於胃腸道惡性腫瘤中，在新一代免疫療法中作為創新治療靶點，其在腫瘤中的獨特表達被用於開發針對胃腸道癌症的治療方法
「臨床試驗」	指	驗證或發現試驗藥物的療效及副作用以確定該等藥物治療價值及安全性的調查研究
「Cmax」	指	給藥後及第二次給藥前，血液、腦脊液或靶器官中藥物的最高濃度
「CMC」	指	化學、製造和控制過程，包括生產工藝、雜質研究、質量控制和穩定性研究

技術詞彙表

「CMO」	指	合同製造組織，依據合同為製藥行業的其他公司提供藥物開發到藥物生產等綜合服務的公司
「隊列」	指	作為臨床研究的一部分的一組患者，其在限定的時期內具有共同的特徵或經歷並且隨時間被監控
「冷腫瘤」	指	不大可能引發強烈免疫反應的腫瘤。冷腫瘤往往被能夠抑制免疫反應並阻止T細胞攻擊和殺死腫瘤細胞的細胞包圍
「聯合療法」或「聯用」	指	給予患者兩款或以上藥物(或其他治療藥物)以治療一種疾病的療法
「化合物」	指	由兩種或兩種以上元素結合而成的物質
「CRO」	指	合同研究組織
「CRS」	指	細胞因子釋放綜合症，一種急性全身性炎症綜合症，以發熱和多器官功能障礙為特徵，與CAR-T療法、治療性抗體和單倍體同種異體移植有關
「CTLA-4」	指	細胞毒性T淋巴細胞相關蛋白4，其下調T細胞對癌細胞的免疫反應
「細胞因子」	指	一類低分子量的蛋白質，在細胞信號傳導中起重要作用，其釋放對表達相應受體／配體的細胞的行為有影響
「細胞毒性」	指	對活細胞有毒
「DC」	指	對周圍環境不斷進行病毒和細菌等病原體採樣，檢測危險並啟動免疫反應的細胞。未成熟的巡邏樹突細胞具有高內吞活性和低T細胞激活潛力。與病原體接觸可誘導某些細胞表面分子的成熟和表達，從而大大增強其激活T細胞的能力
「DCR」	指	疾病控制率，即對治療有反應的患者的總比例，等於完全緩解(CR)、部分緩解(PR)和病情穩定(SD)的總和

技術詞彙表

「DLT」	指	劑量限制性毒性，指在臨床試驗中，藥物或其他治療所出現的副作用，鑒於其嚴重程度，須阻止增加該治療劑量
「DME」	指	糖尿病性黃斑水腫
「DOR」	指	緩解持續時間，指腫瘤在癌症未出現進展或擴散情況下對治療持續反應的時間
「EAC」	指	食管腺癌
「EGFR」	指	表皮生長因子受體
「表位」	指	抗體附著的抗原具體區域部分
「Fc」	指	可結晶片段區，抗體的尾部區域，與細胞表面受體（稱為Fc受體）和補體系統的某些蛋白質相互作用
「FcγR」	指	Fc-gamma受體，免疫球蛋白Fc區域受體
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局
「纖維化」	指	身體正常癒合過程不受控制，導致形成永久性瘢痕組織的情況
「一線」或「1L」	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
「GC」	指	胃癌
「GEA」	指	胃食管腺癌
「GEJC」	指	胃食管結合部癌
「GI」	指	胃腸道的縮寫，指胃腸道，「GI毒性」在此指影響胃腸道的不良事件，與Fc活性療法相比，Fc沉默設計有助於減少此類毒性
「等級」	指	用於表達不良事件嚴重程度的術語，使用1級、2級、3級等

技術詞彙表

「半衰期」	指	體內藥物濃度或量減少至該藥物給定濃度或量的一半所需的時間
「HER2」	指	人表皮生長因子受體2
「HER2陰性」	指	腫瘤細胞的HER2狀態，通過測試評分為IHC 0、IHC 1+或IHC 2+/FISH (或ISH) — (IHC 2+plus FISH (或ISH) —)，約80%的GEA患者屬於此類別
「HER2陽性」	指	腫瘤細胞的HER2狀態，通過測試評分為IHC 3+或IHC 2+/FISH (或ISH) + (IHC 2+plus FISH (或ISH) +)
「同源二聚體」	指	由兩條多肽鏈組成的蛋白質，其氨基酸殘基的序列、數目和種類相同
「ICI」	指	免疫檢查點抑制劑，一類阻斷某些類型的免疫系統細胞及／或癌細胞產生的某些蛋白質的藥物，有助於促進免疫反應並允許免疫細胞殺死癌細胞
「免疫原性」	指	特定物質(如抗原或表位)在人體及其他動物體內引起免疫反應的能力(即誘導體液及／或細胞介導免疫反應的能力)
「免疫療法」	指	一種通過免疫系統幫助身體對抗癌症、感染及其他疾病的療法
「體外」	指	拉丁文「玻璃內」，體外研究指在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)內進行研究
「體內」	指	拉丁文，意為「生物體內部」，指在完整的活生物體上測試各種生物或化學物質的影響，而不是在局部或死亡的生物體上，或者在體外進行研究
「IND」	指	臨床研究用新藥或臨床研究用新藥申請，在中國和美國亦被稱為臨床試驗申請
「IND支持性」	指	生物製藥開發中的關鍵階段，涉及完成必要的臨床前研究

技術詞彙表

		及數據準備以支持提交臨床研究用新藥(IND)申請，從而允許開始候選藥物的早期臨床階段試驗
「適應症」	指	導致建議進行治療、檢查或程序的跡象、症狀或身體狀況
「抑制劑」	指	一種添加或應用於另一種物質，以減緩反應或防止發生某種不必要化學變化的化學品或物質
「玻璃體注射」	指	將藥物注入或輸注到眼睛的玻璃體腔內
「irAE」	指	免疫相關不良事件的縮寫，指在使用免疫療法(如ICI)治療期間發生的不良反應，由免疫系統的激活或失調引起，是已獲批ICI的主要限制之一
「IV」	指	「靜脈內」的縮寫，指靜脈內給藥途徑，藥物直接輸送到患者靜脈中，此處給藥方案指定為IV Q2W(每2週靜脈注射一次)及IV Q3W(每3週靜脈注射一次)
「KOL」	指	關鍵意見領袖的縮寫，指在生物製藥領域具有權威專業知識及影響力的頂級行業專家，他們與領先的投資公司一起為本公司的眼科特許經營發展提供專業支持
「MAD」	指	最大給藥量，患者給藥的最大安全劑量
「轉移性」	指	就任何疾病(包括癌症)而言，指致病生物體或惡性或癌細胞，通過血液或淋巴管或膜表面轉移到身體其他部位
「MNC」	指	跨國製藥公司
「單克隆抗體」或「mAb」	指	一種由相同免疫細胞製造的對抗特定抗原表位的單特異性抗體，該等免疫細胞是同一個獨特母細胞的克隆，單克隆抗體與由多個不同免疫細胞製造的多克隆抗體相反

技術詞彙表

「單藥治療」	指	使用單一藥物治療疾病或病症的療法
「MTD」	指	最大耐受劑量，即不會導致不能承受的副作用的藥物或治療的最高劑量
「初治」	指	此前未接受過治療
「nAMD」	指	新生血管性年齡相關性黃斑變性
「新藥申請」	指	新藥申請或生物製品許可申請(如適用)
「新生血管形成」	指	新血管的自然形成
「NK細胞」	指	自然殺傷細胞，一類細胞毒性淋巴細胞，對病毒感染細胞及其他細胞內病原體快速應答，以及對腫瘤形成應答
「非小細胞肺癌」	指	非小細胞肺癌
「孤兒藥認證」	指	授予針對罕見疾病或影響小部分患者群體的疾病的藥物的監管資格，旨在通過提供激勵措施鼓勵開發，是本公司計劃為givastomig探索的加速監管途徑之一
「ORR」	指	總響應率或客觀響應率，等於CR與PR的總和
「OS」	指	總生存期
「PCT專利申請」	指	PCT專利申請指根據專利合作條約(PCT)提出一項單一申請存案，而該條約向申請人授予日後向任何締約國提交國家／地區專利申請的權利。PCT專利申請應在指定的期限內進入選定締約國的國家階段，以便在該等司法管轄區尋求專利保護
「PD」	指	藥效學，指對藥物(此處為givastomig)對身體影響的研究，包括其誘導的生理或生化反應以及該等效應與藥物濃度時間之間的關係，其特徵描述被列為givastomig Ia期研究的次要目標
「PD-1」	指	程序性細胞死亡蛋白1，在某些T細胞、B細胞及巨噬細胞上表達的免疫檢查點受體。PD-1的正常功能在於關閉T細

技術詞彙表

		胞介導的免疫反應，作為阻止健康免疫系統攻擊體內其他致病細胞的程序一部分。當T細胞表面的PD-1附著在正常細胞或癌細胞表面的某些蛋白質上時，T細胞會關閉其殺死細胞的能力
「PDAC」	指	胰腺導管腺癌
「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，其可附著於T細胞表面的PD-1受體上，導致T細胞關閉其殺死癌細胞的能力
「PFS」	指	無進展生存期，在治療疾病(如癌症)期間及之後，患者在疾病並無惡化的情況下生存的時間跨度。於臨床試驗中，計量無進展生存期是了解一種新療法效果如何的方法之一
「1期」	指	研究對健康人體試驗對象或患有目標疾病或狀況的患者給藥，測試安全性、劑量耐受性、吸收、代謝、分佈、排泄，並在可能情況下了解其早期藥效
「2期」	指	研究一款藥物在有限的患者群體中使用，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
「3期」	指	研究在良好控制的臨床試驗中對擴大患者群體進行給藥，一般在地域分散的臨床試驗機構開展，以產生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
「關鍵臨床試驗」	指	需要在申獲藥物上市批准之前開展，以論證藥物臨床療效、提供安全性證據的臨床試驗或研究
「PK」	指	藥代動力學，藥物在體內一段時間內的活動，包括藥物在體內吸收、分佈、代謝和排泄的過程
「PoC」	指	概念驗證

技術詞彙表

「PR」	指	部分緩解，根據實體瘤療效評價標準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%。對於MA和MPE治療，指液體（腹水或胸水）量至少減少50%，並持續至少4週（基於CT評估）
「臨床前研究」	指	在實驗室條件下對一種治療方法進行體外或體內測試的研究或項目，以收集療效、毒性、藥代動力學和安全性資料，並確定藥物是否可以用於臨床試驗
「PR」	指	部分緩解，根據RECIST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%
「Q3W」	指	每三週一次
「研發」	指	研究與開發
「RECIST」	指	實體瘤療效評價標準，一組作為衡量癌症患者療效的標準方法。該標準評估腫瘤是縮小、保持不變或變大。該標準由包括歐洲癌症研究與治療組織(EORTC)、美國國家癌症研究所和加拿大國家癌症研究所臨床試驗組在內的國際合作機構於2000年2月發佈。目前，大多數評估癌症治療對實體瘤客觀反應的臨床試驗都使用RECIST。該等標準於2000年2月制定和發佈，並隨後於2009年更新
「難治性」	指	當用於提及任何類型的癌症時，指對治療無應答的癌症。癌症可能在治療開始時就有耐藥性，也可能在治療期間出現耐藥性
「復發性」	指	當提及包括癌症在內的任何疾病時，疾病或疾病的體症和症狀在一段改善期後復發。就癌症而言，可能的復發發生的原因是在最初治療後存活了少數原始癌細胞。有時這是因為癌細胞擴散到身體的其他部位，並且太小而不能在緊隨治療的後續期間檢測到

技術詞彙表

「嚴重不良事件」	指	嚴重不良事件，任何劑量的人類藥物試驗中任何醫療事件：導致死亡；威脅生命；需要住院治療或導致延長現有住院時間；導致持續或嚴重殘疾／喪失工作能力；可能導致先天性異常／出生缺陷，或需要干預以防止永久性損傷或傷害
「SD」	指	病情穩定。根據RECIST在腫瘤學領域指腫瘤大小或體內癌症嚴重程度既沒有縮小至少30%也沒有增大至少20%的癌症
「實體瘤」	指	組織的異常腫塊，通常不包含囊腫或液性暗區。實體瘤可能是良性的（不是癌症）或惡性的（癌症）。不同類型的實體瘤以形成它們的細胞類型命名
「標準治療」	指	獲醫學專家接納作為適當治療若干類疾病並獲醫護人員廣泛使用的療法
「T細胞」	指	由胸腺產生或加工並且積極參與免疫反應的一種類型的淋巴細胞，其在細胞介導免疫中起著核心作用
「靶向療法」	指	一種利用具有特定靶點的藥物干擾癌細胞生長、分裂及擴散，達到治療腫瘤目的的治療方法
「TKI」	指	酪氨酸激酶抑制劑，一種抑制酪氨酸激酶的藥物
「毒性」	指	一種物質或物質混合物可能傷害人類或動物的程度，通常以劑量反應表示
「治療相關不良事件」	指	治療相關不良事件，在研究期間發生並被評估為與研究藥物相關的不良健康影響
「初治」	指	描述尚未接受過針對其特定病症的任何先前系統治療的研究參與者的術語，是研究的關鍵資格標準

技術詞彙表

「VEGF」	指	血管內皮生長因子，一個信號蛋白家族，對新血管的生長和癌細胞的發育至關重要。VEGF與VEGF受體(VEGFR)結合，該受體以三種主要亞型存在，包括VEGFR-1、VEGFR-2和VEGFR-3
「4-1BB」	指	一種在T細胞表面表達的共刺激分子，特別是在CLDN18.2陽性腫瘤細胞附近的T細胞上表達，激活時可刺激T細胞活性