

## 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釋義。該等釋義未必符合標準行業釋義，亦未必可與其他公司採納的類似詞彙相比。

「AAV」	指	腺相關病毒，其已成為一種具吸引力的基因治療載體，可轉染肌肉、眼、腦、肝及肺等多種組織細胞，並持續基因表達
「AAV2」	指	腺相關病毒血清2型
「AAVANCE™」	指	AAV Advanced Next-gen CGMP Excellence，我們專有的生產平台，可實現rAAV基因治療產品的可規模化、高質量及低成本生產
「ACE抑制劑」	指	血管緊張素轉化酶抑制劑，為一類通過阻斷ACE酶治療高血壓的藥物
「adRP」	指	常染色體顯性遺傳視網膜色素變性
「AE」	指	不良事件，指向患者提供醫療護理時發生的有害及負面後果
「Aflibercept」	指	一種人源化重組融合蛋白，為一種可溶性誘餌受體，與血管內皮生長因子A和B及胎盤生長因子結合，親和力高於人體天然受體。其被稱為誘餌受體，是因為VEGF不與其原始受體結合，而是被誘導與aflibercept結合，從而降低VEGF活性
「AMD」	指	年齡相關性黃斑變性，一種退行性視網膜疾病，會導致中心視力逐漸喪失，亦是老年人不可逆轉失明的主要原因
「ANGPT2」	指	一種主要由內皮細胞分泌的血管生成因子，其會加劇炎症反應，並作為敗血症期間內皮損傷的早期生物標誌物

## 技術詞彙表

「抗VEGF」	指	一種減緩或阻止血管異常生長所致損害的藥物
「arRP」	指	常染色體隱性視網膜色素變性，一種遺傳性眼疾
「ARVC」	指	致心律失常性右心室心肌病，一種遺傳性心肌疾病，其特徵是右心室心肌被纖維脂肪組織進行性替代
「Bac/Sf9」	指	桿狀病毒／草地貪夜蛾昆蟲細胞
「BCVA」	指	最佳矯正視力，指一個人使用最佳矯正鏡片(如眼鏡或隱形眼鏡)治療屈光不正後可達到的最高視力水平
「BLA」	指	生物製品許可申請，向FDA或者監管機構提出以獲准上市或交付上市生物製品的請求
「藥審中心」	指	國家藥品監督管理局藥品審評中心，為國家藥監局旗下部門，負責評估藥品臨床試驗申請、藥品上市許可申請、補充申請及境外生產藥品再註冊申請
「CDMO」	指	合約開發及生產組織，以合約形式為製藥行業其他公司服務的公司，提供藥品開發及藥品生產服務
「CEP290」	指	中心體蛋白290，一種對構建及維持初級纖毛和中心體至關重要的基因及蛋白質，該等細胞結構參與細胞分裂、形態及視聽等感覺功能
「cGMP」	指	現行藥品生產質量管理規範，乃由美國食品藥品監督管理局、世界衛生組織及歐洲藥品管理局等監管機構實施的法規，以確保藥品、醫療器械及食品的生產和控制符合嚴格的質量標準

## 技術詞彙表

「cKO」	指	條件性基因敲除，一種基因技術，在特定時間於靶細胞、靶組織中關閉或刪除特定基因，而非全局性操作，使研究人員能夠研究基因功能及模擬疾病，而不會造成傳統基因敲除中出現的早期致死性或廣泛影響
「CMC」	指	藥品開發、許可、生產及持續營銷中的化學、製造和控制過程
「密碼子優化」	指	一個通過適應宿主生物的密碼子偏好性以改善基因表達並提高目的基因翻譯效率的過程
「連接纖毛」	指	光感受器細胞(視桿細胞和視錐細胞)中的一種特化的窄柄，將內節(蛋白質工廠)與感光外節連接起來，充當光感受器內外節之間的橋樑，促進光感受器細胞存活及發揮功能所必需的蛋白質和物質的轉運
「COR」	指	推薦類別，一個評估治療或檢測建議強度的系統，表明其益處大於風險的可能性
「CpG基序」	指	胞嘧啶-鳥嘌呤基序，一種DNA序列，其中胞嘧啶(C)核苷酸緊隨鳥嘌呤(G)核苷酸，並由磷酸基(p)連接
「CRO」	指	合約研究組織，以合約形式向製藥、生物技術及醫療器械行業提供外包研究服務支持的公司
「CSME」	指	有臨床意義的黃斑水腫
「CST」	指	中心子區厚度，黃斑中心(直徑1毫米)視網膜厚度的客觀、可量化測量指標，常用於糖尿病黃斑水腫或年齡相關性黃斑變性等疾病

## 技術詞彙表

「C57BL/6」	指	生物醫學研究中常用的近交系小鼠品系，以其在生產靶向突變或基因敲除小鼠方面的應用而聞名，專注於生理和解剖學特性
「分貝」	指	一種聲音的對數單位，用於聽力測量(聽力測試)以測量聽閾及用於超聲成像
「DLT」	指	劑量限制性毒性，指經評估與疾病進展、併發疾病或合併用藥無關的臨床重大不良事件或異常實驗室值，且符合美國國家癌症研究所不良事件通用術語標準第3級(嚴重)或第4級(危及生命)的標準
「DME」	指	糖尿病黃斑水腫
「劑量遞增」	指	用於早期臨床試驗(尤其是I期研究)的過程，以確定研究性治療的最大耐受劑量
「劑量限制性毒性」	指	藥物或其他療法的副作用，其嚴重程度足以阻止增加該療法的劑量或水平
「DR」	指	糖尿病視網膜病變，糖尿病的一種微血管及神經退行性併發症，其特徵為周細胞丟失、基底膜增厚、微動脈瘤形成、新生血管形成及血視網膜屏障破壞
「空衣殼」	指	不含載體基因組的病毒殼衣，在包裝腺相關病毒作為基因治療中的病毒載體時形成
「EOSRD」	指	早發性嚴重視網膜營養不良，一組罕見的遺傳性眼部疾病，導致從嬰兒期或幼兒期(5歲前)開始的嚴重視力喪失，其特徵為夜視力/中心視力差、眼球震顫(不自主眼球運動)、畏光及瞳孔反應遲緩，常與萊伯氏先天性黑蒙重疊，視力隨時間逐漸惡化

## 技術詞彙表

「ERG」	指	視網膜電圖，一種測量視網膜對光電反應的測試，對診斷視網膜色素變性等視網膜疾病至關重要
「ETDRS字母」	指	用於糖尿病視網膜病變早期治療研究視力表的字母，該視力表是眼科檢查中測量視力的標準化工具，尤其適用於糖尿病眼病
「EXACTE™」	指	Excellence in AAV Capsid and Transgene Engineering，我們專有的rAAV基因治療研發平台，旨在推動創新、提高效率及安全性，以創造變革性的基因療法
「橢圓體寬度」	指	在光學相干斷層掃描(OCT)圖像上，沿視網膜水平方向測量的、橢圓體帶(Ellipsoid Zone, EZ)連續可見部分的橫向距離
「快速通道」	指	FDA旨在促進開發及加快審查用於治療嚴重疾病和滿足未竟醫療需求的藥物的程序
「快速通道資格認定」	指	FDA授予臨床試驗中藥物或產品的資格，意味著FDA將促進及加快新藥批准申請的開發及審查
「Fc」	指	可結晶片段，抗體的尾部區域，負責效應功能，與抗原結合的Fab臂不同
「FDA」或「美國FDA」	指	美國食品藥品監督管理局，衛生與公眾服務部下屬的聯邦機構
「一線」	指	針對特定疾病或病症給予的初始、首選或標準療法，因其高效性及通常較低的風險而被選中
「FPI」	指	首例患者入組，首名參與者符合所有標準並被正式接納參加臨床試驗或在臨床試驗中接受治療的正式日期及/或日期和時間
「FST」	指	全視野刺激閾值，一種全視野視網膜光敏感度的心理物理測量方法

## 技術詞彙表

「GCP」	指	藥品臨床試驗管理規範，一項關於設計、實施、記錄及報告涉及人類參與者參與試驗的國際倫理及科學質量標準
「基因療法」	指	一種創新及顛覆性的治療方法，利用各種基因改變技術從源頭上治療疾病
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範，為確保藥品按照質量標準進行一致性生產及控制所必需的系統及程序。在臨床試驗中，GMP確保在研藥品的生產方式能夠保障參與者安全、產品完整性及法規合規性
「GOI」	指	目的基因，也稱靶標基因，是指在實驗中研究或操縱的特定基因
「GUCY2D」	指	鳥苷酸環化酶2D，一種對視覺至關重要的基因，在視網膜中產生一種有助於將光轉換為電信號的酶，其突變會導致遺傳性視網膜疾病
「HCM」	指	肥厚型心肌病，一種以心肌(尤其是心室壁)異常增厚為特徵的遺傳性疾病。這種增厚會阻礙血流，損害心臟有效泵血的能力，可能導致心律失常、心力衰竭或心源性猝死
「HEK293」	指	人胚胎腎293
「IgG1」	指	免疫球蛋白G1，最豐富的人類IgG亞類，以其強大的免疫激活及治療效用而聞名
「IND」	指	新藥臨床試驗或新藥臨床試驗申請，在中國亦稱為臨床試驗申請

## 技術詞彙表

「玻璃體內注射」	指	一種醫療程序，將藥物直接輸送到玻璃體液中。玻璃體液是填充眼球晶狀體和視網膜之間空間的透明凝膠狀物質。該給藥方法可對各種眼部疾病進行靶向治療，如年齡相關性黃斑變性、糖尿病視網膜病變及視網膜靜脈阻塞
「研究者發起的試驗」或「IIT」	指	研究者發起的試驗，指由研究者構思研究、制定方案的臨床試驗
「 <i>in Vitro</i> 」	指	拉丁語，體外，意為「在玻璃體內」，指在正常生物環境之外對實體進行的研究
「 <i>in Vivo</i> 」	指	拉丁語，體內，意為「在活體內」，指在完整、活的生物體或細胞(通常是動物，包括人類和植物)上測試各種生物實體的影響的研究
「IRD」	指	遺傳性視網膜疾病
「LCA」	指	萊伯氏先天性黑蒙，一種嚴重的視網膜營養不良，導致視錐細胞和視桿細胞光感受器部分或全部喪失，從而導致先天性失明，通常以常染色體隱性方式遺傳
「LCA2」	指	2型萊伯氏先天性黑蒙，一種嚴重的遺傳性視網膜變性，可導致生命早期嚴重的視力障礙
「位點」	指	染色體上特定基因或DNA序列所在之精確位置
「MFP」	指	多色眼底照相
「MLMT」	指	多亮度活動視力測試，一種相對較新的方法，可提供與視覺相關的日常生活活動(即動態視覺)的測量
「mVNC」	指	近視性脈絡膜新生血管
「MYBPC3」	指	肌球蛋白結合蛋白C3，一種蛋白質編碼基因

## 技術詞彙表

「nAMD」	指	新生血管性AMD，一種嚴重的黃斑變性，其中異常、滲漏的血管在視網膜下生長，導致腫脹、出血、結疤及中心視力迅速喪失，使其成為失明的主要原因
「NDA」	指	新藥申請
「NEI VFQ-25評分」	指	美國國家眼科研究所視覺功能問卷25，一份標準的參與者報告問卷，評估12個領域(如近／遠視力、眼痛、社交功能及駕駛)的視覺相關生活質量，評分從0(最差)到100(最佳)，用於眼科疾病(白內障、AMD、青光眼)的臨床試驗，以衡量視力問題對日常生活的影響及治療效果
「NIH」	指	美國國立衛生研究院，美國衛生與公眾服務部的一部分，是美國的醫學研究機構，作出了改善健康及拯救生命的重大發現
「國家藥監局」	指	國家藥品監督管理局，負責對食品、保健品及化妝品的安全管理進行全面監督，為中國藥品監管的主管部門，前稱國家食品藥品監督管理局(「 <b>國家食藥監總局</b> 」)
「NOAEL」	指	無可見有害作用水平，指在測試中未觀察到某物質有顯著毒理學效應的最高劑量，表明該物質的安全閾值
「NPDR」	指	非增殖性DR
「OCT」	指	光學相干斷層掃描，一種非侵入性診斷技術，可提供視網膜的體內橫截面圖
「ONL」	指	眼外核層，是視網膜十層結構中的一層，位於外界膜的內側，外從狀層的外側

## 技術詞彙表

「開放標籤」	指	一種研究參與者和醫護人員均知道正在給予何種治療(實驗性藥物、現有治療或安慰劑)的試驗，亦稱為非盲法
「孤兒藥資格認定」	指	授予稱為孤兒藥的若干藥物的資格，該等藥物在治療、預防或診斷孤兒病方面顯示出前景
「PCT」	指	《專利合作條約》，於1970年締結的國際專利法條約。其為提交專利申請提供統一程序
「帕金森病」	指	帕金森病
「PDR」	指	增殖性糖尿病視網膜病變，晚期威脅視力的階段，其定義為視網膜上異常、脆弱的新血管生長，可導致嚴重出血及視網膜脫離
「光動力療法」	指	眼光動力療法，或稱眼科光動力療法，是一種利用特定的光激活光敏劑，從而選擇性破壞眼部病變組織的微創治療方法
「I期臨床試驗」	指	一項測試新候選藥物安全性的研究
「II期臨床試驗」	指	一項在更大參與者群體中測試新候選藥物，以收集有關其是否有效及效果如何的研究
「III期臨床試驗」	指	一項針對已通過I期和II期臨床試驗的新候選藥物所開展的研究，該研究在更大的參與者群體中測試新候選藥物，並將新候選藥物與現有療法或安慰劑進行比較，以確定其在實踐中是否效果更好以及是否有重要的副作用
「PKP2」	指	編碼Plakophilin-2(斑菲蛋白-2)的基因，該蛋白對心肌細胞結構(橋粒)至關重要
「PlGF」	指	胎盤生長因子，一種關鍵蛋白質及生物標誌物，主要用於懷孕期間通過評估胎盤健康狀況來幫助診斷早發型子癩前期

## 技術詞彙表

「潛在全球同類最佳」或「具全球同類最佳潛力」	指	一款候選產品，有公開來源(例如論文、會議口頭報告及研究方案)顯示其療效、安全性、給藥間隔或給藥途徑優於同類別的代表性產品和候選產品，並有潛力成為治療標準、重磅藥物或已揭露研究結果的臨床開發中創新產品。該候選產品的研究設計必須在適應症、患者納入及排除標準以及主要臨床研究終點等方面與代表性產品及候選產品的註冊研究具有可比性
「PPV」	指	經睫狀體平坦部玻璃體切除術
「蛋白質工程」	指	對蛋白質中氨基酸的刻意修飾，通常利用已知的蛋白質三維結構和生化機制，常通過定點突變等技術來增強穩定性和活性等特性
「質保」	指	質量保證，為確保藥物符合所有質量預期而作出的系統性努力
「質控」	指	公司審查藥品生產所涉所有因素質量的過程
「rAAV」	指	重組腺相關病毒，一種小型的非致病性病毒載體，已成為體內基因治療的領先平台，乃經修飾、攜帶基因的AAV版本
「RP」	指	視網膜色素變性，一種導致視網膜變性及視力下降的遺傳性視網膜疾病
「RPE」	指	視網膜色素上皮
「RPE65」	指	視網膜色素上皮一種分子量為65 kDa，具有異構酶活性的蛋白，乃視覺循環中的一種關鍵酶，對視網膜中光敏視覺色素的再生至關重要
「Rpgr-KO小鼠」	指	Rpgr1基因敲除小鼠

## 技術詞彙表

「RPGR-ORF15」	指	視網膜色素變性GTP酶調節因子基因的開放閱讀框15區域
「RP2D」	指	II期推薦劑量
「RVO」	指	視網膜靜脈阻塞
「SAE」	指	嚴重不良事件，指在人體藥物試驗中發生的任何劑量的醫療事件，其導致死亡、危及生命、需要住院治療或延長現有住院時間、導致持續或重大的殘疾／喪失能力、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損害
「二線」	指	一線治療效果不佳或停止起效時嘗試的療法
「TEAE」	指	治療期間發生的不良醫療事件
「血管通透性」	指	血管允許血漿蛋白及其他大分子進入周圍組織的能力。該過程受血管內皮生長因子等因素的顯著影響
「載體」	指	一種DNA分子(通常是質粒或病毒)，用作將特定DNA片段帶入宿主細胞的載體，用於克隆或重組DNA技術
「VEGF」	指	血管內皮生長因子，一種對癌細胞生長及發育至關重要的基因。VEGF受體有三個主要亞型，包括VEGFR-1、VEGFR-2和VEGFR-3
「VEGF-A」	指	一種促進全身及眼部血管生成的生化信號蛋白。通過減少VEGF-A對其天然受體的激活， aflibercept可減少隨後的新血管生長

## 技術詞彙表

「VEGF-B」	指	一種參與血管支持、組織保護及神經元存活的生長因子，其作用超出了單純的血管形成(血管生成)，在心臟病、青光眼及帕金森病等疾病中作為關鍵的抗氧化劑來對抗氧化應激
「VEGFR」	指	血管內皮生長因子受體，細胞表面上的一個受體酪氨酸激酶家族(VEGFR-1、-2、-3)，可與VEGF結合，啟動血管生長信號
「XLRP」	指	X連鎖視網膜色素變性