

## 技術詞彙表

本技術詞彙表載有對本文件所用若干技術詞彙的說明。因此，該等詞彙及其涵義未必與該等詞彙的標準行業涵義或用法一致。

「ABC」	指	活化的B細胞樣，瀰漫性大B細胞淋巴瘤(DLBCL)的一種亞型，以激活特定的信號通道及獨特的基因表達譜為特徵
「ADC」	指	抗體藥物偶聯物，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，其膜表面抗原已被特异性抗體結合
「激動劑」	指	與受體或其他蛋白質結合併使其激活以產生生物反應的化學物質
「AS」	指	強直性脊柱炎，一種主要影響脊柱及骶髂關節的慢性炎症性自身免疫性疾病，以關節強直、疼痛及活動受限為特徵
「ASAS40」	指	國際脊柱關節炎評估協會40反應標準，定義為在四個領域(與ASAS20相同)中至少三個領域，改善不少於40%，而從0至10的比例上，絕對改善至少為2，及餘下領域並無惡化
「ASCT」	指	自體幹細胞移植，一種收集患者自身的造血幹細胞，保存後在患者接受高劑量化療後重新輸注，以重建骨髓功能的手術
「哮喘」	指	一種影響各年齡段人群的慢性肺部疾病，由氣道週圍的炎症和肌肉收縮引起，導致呼吸困難
「特應性皮炎」	指	一種慢性炎症性皮膚病，其特徵是皮膚乾燥、發癢及發炎，與免疫系統失調有關

---

## 技術詞彙表

---

「axSpA」	指	中軸型脊柱關節炎，主要影響脊柱及骶髂關節導致疼痛及僵硬的慢性炎症性疾病
「BASDAI」	指	Bath強直性脊柱炎疾病活動指數，一種用於衡量強直性脊柱炎患者症狀嚴重程度的自我評估工具
「BC」	指	乳腺癌
「BiADC」	指	雙重有效載荷ADC，一種單個抗體與兩種不同類型的載荷（通常具有不同的作用機制及／或物理化學性質）結合併允許同時將兩種藥物遞送至相同靶細胞的ADC
「生物類似藥」	指	在質量、安全性和有效性方面與已獲准註冊的參照產品具有相似性的治療用生物製品
「BLA」	指	生物製品許可申請
「BpADC」	指	雙表位ADC，一種基於雙表位抗體的ADC，設計用於結合同一靶抗原上的兩個不同表位，從而增強靶結合、受體內化及載荷遞送
「BTK」	指	布魯頓酪氨酸激酶，一種在B細胞受體信號傳導、B細胞發育、活化及存活中起關鍵作用的非受體酪氨酸激酶
「旁觀者效應」	指	細胞毒性作用，當ADC的細胞毒性有效載荷在ADC內吞和降解後或在細胞外空間裂解後從靶細胞釋放時發生，導致有效載荷被吸收並殺死周圍可能表達或可能不表達ADC靶抗原的細胞
「年複合增長率」	指	年複合增長率
「1類」	指	生物療法尚未獲批於中國或海外上市的治療生物製劑（定義見國家藥監局發佈的《生物製品註冊分類及申報資料要求》）

---

## 技術詞彙表

---

「CD20」	指	分化簇20，一種主要在B淋巴細胞表面表達的跨膜糖蛋白，參與調節B細胞的活化、增殖和分化
「CDC」	指	補體依賴性細胞毒性，補體系統藉此由與靶細胞(如病原體或腫瘤細胞)表面結合的抗體激活的免疫機制。激活後導致形成膜攻擊複合物，在靶細胞膜內產生孔道，從而導致細胞裂解和死亡
「CDMO」	指	合同開發及生產組織，以按合約基準外包開發及生產服務的形式為製藥、生物技術和醫療器械行業提供支持的公司
「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其他細胞快很多，最常用於癌症治療
「CHOP」	指	主要用於非霍奇金淋巴瘤(NHL)的標準一線化療方案，由環磷醯胺、[阿霉素(阿黴素)]、長春新城(安可平)及潑尼松龍組成，通常與CD20靶向單克隆抗體聯合使用以提高治療效果
「CKD」	指	慢性腎臟疾病，一種進行性疾病，其特徵是腎功能隨時間逐漸喪失，典型表現為腎小球濾過率下降或有腎臟損傷跡象
「C <sub>max</sub> 」	指	最高血漿濃度，一種藥代動力學參數，用於測量給藥後血液、腦脊液或靶器官中藥物的最高濃度
「CMC」	指	化學、製造及控制(亦通常稱為工藝開發)，涵蓋用於評估藥物產品的物理及化學特性以及確保其於製造過程中的質量及一致性的各種程序
「CMO」	指	合同生產組織

---

## 技術詞彙表

---

「隊列」	指	作為臨床試驗一部分的一組患者，彼等在一個確定的時期內有共同的特徵或經驗，且隨時間受到監察
「聯合療法」	指	使用不止一種藥物或方式的治療
「CR」	指	完全緩解，經治療後所有癌症跡象均消失
「CRO」	指	合同研究組織，以按合約基準外包研究服務的形式為製藥、生物技術和醫療器械行業提供支持的公司
「CSCO」	指	中國臨床腫瘤學會
「CSO」	指	合同銷售組織，一間為製藥、生物技術及醫療器材公司提供外包銷售與營銷服務的公司
「細胞毒性」	指	對活細胞有毒
「DAR」	指	藥物與抗體之比，即ADC中每個抗體所攜帶的藥物分子的平均數量
「DCR」	指	疾病控制率
「DLBCL」	指	彌漫性大B細胞淋巴瘤，一種生長迅速、侵襲性強的非霍奇金淋巴瘤，起源於B細胞
「DMARD」	指	改善病情抗風濕藥物，一類通過改變潛在的疾病過程，減緩進展，防止關節損傷，改善整體功能的用於治療自身免疫性疾病(如類風濕性關節炎)的藥物，主要治療類風濕性關節炎、銀屑病關節炎和強直性脊柱炎等自身免疫性疾病
「DMPK」	指	藥物代謝及藥代動力學
「DOR」	指	反應持續時間，腫瘤在癌症不生長或擴散的情況下繼續對治療產生反應的時間長度
「EMT」	指	上皮間質轉化，一種上皮細胞通過喪失細胞極性及細胞間粘附特性而獲得間質特性(包括增強的遷移及侵襲能力)的生物學過程

---

## 技術詞彙表

---

「FAS」	指	完整分析集，在臨床試驗分析中所有已入組並納入的受試者群體，不論彼等是否完成臨床試驗或遵從臨床試驗
「Fc」	指	可結晶片段，為抗體的尾部區域，與稱為Fc受體的細胞表面受體和補體系統的某些蛋白質相互作用
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局，衛生與公共服務部下轄的一個聯邦機構
「一線」	指	就任何疾病而言，一線治療指醫療機構普遍接受的初始治療方案或療法，亦稱為初級治療或療法
「GBM」	指	腎小球基底膜，位於有窗孔的腎小球內皮細胞與足細胞足突之間的特殊細胞外基質層，作為腎小球過濾屏障的關鍵組成部分
「GC」或「糖皮質激素」	指	由腎上腺產生的類固醇激素，可調節代謝、免疫反應及壓力，並可用於治療炎症、過敏及自身免疫性疾病等症狀
「GCB」	指	生發中心B細胞樣，瀰漫性大B細胞淋巴瘤(DLBCL)的一種亞型，其特徵是基因表達模式與正常生發中心B細胞相似。與活化的B細胞樣(ABC)亞型相比，該亞型通常有更好的預後，且對標準化療治療的反應通常更佳
「GCP」	指	藥物臨床試驗質量管理規範，用於涉及在人體上展開醫藥產品臨床實驗的國際道德及科學質量標準
「GLP」	指	藥物非臨床研究質量管理規範，一套旨在確保非臨床實驗室研究的質量和完整性的原則及指引，主要用於化學品、藥物和生物製品的測試，確保研究以一致及可靠的方式進行
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範，確保產品始終按照質量標準生產和控制的制度。GMP涵蓋從原材料到製成品的各個生產環節，確保藥品的安全性、質量和療效

---

## 技術詞彙表

---

「痛風」	指	一種由高尿酸血症引起的代謝性關節炎，導致尿酸鈉結晶在關節和組織內沉積，引發急性炎症發作和慢性關節損傷
「GQCE」	指	仿製藥質量和療效一致性評價
「等級」	指	根據常見不良反應事件評價標準(CTCAE) 4.03版，指稱不良事件嚴重程度的術語，使用1級、2級、3級等表示
「婦科癌症」	指	一組起源於女性生殖系統的惡性腫瘤，包括卵巢癌、子宮頸癌及子宮癌等癌症類型
「頭對頭試驗」	指	旨在評估研究藥物與現有護理水平相比的試驗
「血液癌」	指	一組影響血液、骨髓和淋巴系統的癌症，包括白血病、淋巴瘤和多發性骨髓瘤等類型
「HER」	指	人類表皮生長因子受體，一組四種密切相關的受體酪氨酸激酶，在細胞生長、存活和分化中起重要作用
「HER2」	指	人類表皮生長因子受體2
「HER2低表達」	指	以測試評分為IHC 1+或IHC 2+ / ISH— 識別的腫瘤細胞HER2狀態
「HER2陰性」或 「HER2—」	指	以測試評分為IHC 0、IHC 1+或IHC 2+ / ISH— 識別的腫瘤細胞HER2狀態，可進一步分為HER2低表達及HER2無表達
「HER2陽性」或 「HER2+」	指	以測試評分為IHC 3+或IHC 2+ / ISH+ 識別的腫瘤細胞HER2狀態
「HR」	指	風險比，生存分析中用於比較解釋變量對兩組之間某一特定時間點發生的事件的危害或風險影響的度量。HR大於1表明與對照組相比，治療組發生該事件的風險增加，而HR小於1表明風險降低
「HR—」	指	激素受體陰性
「HR+」	指	激素受體陽性

---

## 技術詞彙表

---

「HS」	指	化膿性汗腺炎，一種因毛囊閉鎖導致毛囊皮脂腺單位受累的慢性、復發性、炎症性皮膚病，又稱反常性痤瘡
「IBD」	指	炎症性腸病
「IgG」	指	免疫球蛋白G，血液循環中最常見的抗體類型，在抵禦病原體入侵的抗體免疫中發揮重要作用
「IgG1」	指	免疫球蛋白G1，IgG的一種亞類
「IL-4」	指	白介素4，亦稱為CD124、IL-4R $\alpha$ 及BSF受體，主要由免疫細胞產生的細胞因子，在調節免疫反應，尤其是在Th2偏向免疫反應、替代巨噬細胞激活、黏膜免疫、過敏性炎症、腫瘤進展及動脈粥樣化形成中發揮著至關重要的作用
「IL-4R」	指	白介素4受體，亦稱為CD124、IL-4R $\alpha$ 及BSF受體，是一種由活化的Th2細胞及肥大細胞產生的I型細胞因子受體，在調節T細胞的分化和活化中起關鍵作用，尤其是在促進Th2(輔助性T細胞2)免疫反應、替代巨噬細胞激活、黏膜免疫、過敏性炎症、腫瘤進展及動脈粥樣化形成等方面
「IL-6」	指	白介素6，促炎細胞因子，參與免疫激活、抗體產生及炎症反應
「IL-13」	指	白介素13，主要由免疫細胞產生的細胞因子，在調節免疫反應中發揮著至關重要的作用，尤其是在促進B細胞分化、類別轉換為IgE及引發過敏性炎症方面
「IL-17」	指	白介素17，屬於白介素17家族的促炎細胞因子，在先天性免疫和適應性免疫中均發揮關鍵作用
「IL-17A/F」	指	IL-17細胞因子家族的兩個成員，主要由輔助性T細胞17(Th17)產生，在介導炎症反應和自身免疫性疾病中發揮著重要作用
「imADC」	指	免疫調節型抗體偶聯藥物
「免疫生物製劑」	指	調節或利用人體免疫系統預防、控制或治療疾病的生物療法，包括癌症及自身免疫性疾病

---

## 技術詞彙表

---

「免疫療法」	指 一種通過使用藥物刺激或抑制免疫系統以幫助身體對抗癌症、感染及其他疾病的療法
「體外」	指 拉丁語「在玻璃內」，即使用從常規生物環境中分離出來的生物體成分，如微生物、細胞或生物分子進行的研究
「體內」	指 拉丁語「活體內」，體內研究是指就測試各種生物或化學物質對整個活生物體（包括動物、人類及植物）而並非部分或死去生物體的影響而進行的研究，亦非在體外進行的研究
「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
「炎症」	指 一種對組織損傷或感染的保護性生物反應，其作用是消滅、稀釋或者阻斷有害物和受損組織
「抑制劑」	指 添加或應用於另一物質的化學物質或物質，以減緩反應或防止不良化學變化
「JAK」	指 Janus激酶，包括Janus激酶1或Janus激酶2或Janus激酶3，細胞內非受體酶家族的三個成員，通過JAK信號轉導器和轉錄激活因子轉導細胞因子介導的信號，為細胞因子轉導細胞外信號以誘導炎症、控制免疫反應和協調造血的關鍵信號通路
「KDIGO」	指 改善全球預後，旨在提升腎病患者護理質量的非盈利性醫療組織
「KOL」	指 關鍵意見領袖，在特定領域具有豐富知識的專家及具影響力的人士
「連接子」	指 ADC的三個核心組成部分之一。連接子通過化學鍵連接抗體和有效載荷
「LIV-1」	指 亦稱為SLC39A6或ZIP6，ZIP家族的鋅轉運蛋白，作為多通道跨膜蛋白發揮作用
「mAb」或「單克隆抗體」	指 由相同免疫細胞（均為同一親本細胞的克隆）製造的抗體

---

## 技術詞彙表

---

「MAC」	指	膜攻擊複合物，主要是補體系統在病原體細胞表面形成的結構，在膜上形成孔道，導致細胞裂解和死亡。該複合物在先天性免疫反應中起至關重要的作用，為身體提供途徑可直接消除入侵的微生物，作為抵抗感染的第一道防線的一部分
「最大耐受劑量」	指	不會引起不可接受副作用的藥物或治療的最高劑量
「MCL」	指	套細胞淋巴瘤，一種起源於淋巴結套區B淋巴細胞的非霍奇金淋巴瘤
「轉移性」	指	任何疾病(包括癌症、致病生物或惡性或癌性細胞)通過血液或淋巴管或膜表面轉移到身體其他部位
「甲氨蝶呤」	指	改善病情抗風濕藥物(DMARD)，通常通過抑制葉酸的代謝來治療自身免疫性疾病，如類風濕性關節炎、銀屑病和若干類型的癌症
「MMAE」	指	一甲基澳瑞他汀E
「MN」	指	膜性腎病，因自身免疫攻擊腎小球基底膜引起的腎臟疾病
「MNCs」	指	跨國藥企
「MOA」	指	作用機制
「尿酸鈉」	指	尿酸的鈉鹽在身體組織內產生結晶，尤其是在關節中，是形成痛風的主要原因。MSU水平升高可導致結晶沉積，引起與痛風發作相關的炎症和疼痛
「單藥療法」	指	使用單一藥物治療疾病或病症的療法
「MRCT」	指	國際多區域臨床試驗
「MRI」	指	磁共振成像
「自然殺傷細胞」	指	一種免疫細胞，其顆粒(小顆粒)含有能殺死腫瘤細胞或感染病毒的細胞的酶

---

## 技術詞彙表

---

「NDA」	指	新藥上市申請
「NHL」	指	非霍奇金淋巴瘤，一組起源於淋巴細胞的癌症，淋巴細胞是淋巴系統中的一種白細胞。與霍奇金淋巴瘤不同，NHL包括許多亞型，具有不同的特徵和治療方法
「nr-axSpA」	指	放射學陰性中軸型脊柱關節炎，一種中軸型脊柱關節炎的亞型，主要涉及脊柱和骶髕關節，表現為慢性腰痛、晨僵等症狀，常規X射線未見明確的骶髕關節放射性侵蝕或強直
「國家醫保目錄」	指	中國國家醫保藥品目錄
「NSAID」	指	非甾體抗炎藥
「NSCLC」	指	非小細胞肺癌
「脫靶毒性」	指	當藥物結合到其設計結合的靶點以外的靶點時發生的不良反應
「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
「ORR」	指	客觀緩解率
「OS」	指	總生存期，指患者確診一種疾病或開始治療後仍存活的時長，在臨床試驗中用作衡量藥物的有效性
「有效載荷」	指	ADC的三個核心組成部分之一。有效載荷通常是通過化學連接子連接到抗體上的高活性和細胞毒性分子。非細胞毒性有效載荷目前已成為腫瘤學和非腫瘤學適應症的新型ADC策略
「PCC」	指	臨床前候選藥物
「PCT」	指	專利合作協定
「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
「PEG」	指	聚乙二醇

---

## 技術詞彙表

---

「PFS」	指	無進展生存期，指患者在疾病治療期間及之後病情並未惡化的時長
「藥代動力學」或「PK」	指	動物或人體對藥物吸收的速度及完全程度，包括藥物在動物或人體中的分佈、代謝和排泄的測量
「1期臨床試驗」	指	在該研究中，對健康人體試驗對象或患有靶向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，並在可能的情況下了解其藥效的早期適應症
「2期臨床試驗」	指	在該研究中，對有限的患者群體進行給藥，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靶向疾病的療效，並確定劑量耐受性及最佳劑量
「3期臨床試驗」	指	在該研究中，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中心開展，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
「PMN」	指	原發性膜性腎病，以免疫複合物沉積導致腎小球膜增厚為特徵的腎臟疾病，常導致腎病綜合症，伴有蛋白尿、水腫和高血壓等症狀，通常與對抗磷脂酶A2受體的抗體有關
「PPS」	指	符合方案集
「前列腺癌」	指	一種起源於男性前列腺上皮細胞的惡性腫瘤，是男性最常見的惡性腫瘤之一
「PSA」	指	前列腺特異性抗原，一種主要由前列腺上皮細胞產生的絲氨酸蛋白酶，被廣泛用作篩查、診斷及監測前列腺疾病(包括前列腺癌)的生物標誌物

---

## 技術詞彙表

---

「銀屑病」	指 一種由遺傳和環境相互作用引發的免疫介導的慢性和復發性自身免疫性疾病，其中環境暴露是導致慢性炎症狀態的重要觸發因素。其典型病理表現包括皮膚內異常血管增生，皮膚細胞複製過快，以特徵性皮膚病變為主要臨床表現
「研發」	指 研究與開發
「RA」	指 類風濕性關節炎，一種自身免疫性疾病，會導致關節及身體其他部位出現慢性炎症
「ROR1」	指 受體酪氨酸激酶樣孤兒受體1，屬受體酪氨酸激酶(RTK)家族的一種受體蛋白，在胚胎發育和組織穩態中發揮重要作用，在包括淋巴瘤和乳腺癌在內的多種癌症中表達
「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；需要住院治療或延長現有住院時間；導致持續或嚴重殘疾／失能；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
「SCLC」	指 小細胞肺癌
「SD」	指 疾病穩定
「二線」	指 就任何疾病而言，在初始治療(一線治療)無效或停止發揮作用時使用的療法
「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該等實體瘤的細胞類型命名，例如癌(始於上皮細胞的癌症)及淋巴瘤(始於淋巴細胞的癌症)
「標準療法」	指 醫學專家認為適合用於若干類疾病並獲醫護專業人員廣泛使用的療法
「STAT」	指 信號轉導器和轉錄激活因子，一種發揮轉錄因子功能的蛋白質家族，介導多種細胞因子和生長因子的信號通路

---

## 技術詞彙表

---

「sUA」	指 血清尿酸，血液中的尿酸濃度。它是嘌呤代謝的副產物，通常由腎臟排出。血清尿酸水平升高可導致高尿酸血症和痛風等疾病，而水平降低可能表明有其他健康問題
「T細胞」	指 一種由胸腺產生或加工、積極參與免疫反應並在細胞介導免疫中起核心作用的淋巴細胞。T細胞通過其表面存在的T細胞受體與其他淋巴細胞(如B細胞和NK細胞)區分開來
「TCM」	指 傳統中醫
「TEAE」	指 治療突發不良事件，即在開始使用研究藥物後出現的不良事件，或在使用研究藥物前已存在但在開始使用研究藥物後嚴重程度加劇的不良事件
「治療窗口」	指 能有效治療疾病而不產生毒性作用的藥物劑量範圍，或時間間隔，於此期間可以安全有效地給予特定治療
「三線」	指 就任何疾病而言，在初始治療(一線治療)及後續治療(二線治療)均無效或停止發揮作用時使用的療法
「TNFi」	指 腫瘤壞死因子抑制劑，一類阻斷TNF— $\alpha$ 作用的藥物，TNF— $\alpha$ 是一種參與全身炎症和自身免疫反應的細胞因子。通過抑制TNF— $\alpha$ ，該類藥物有助減輕炎症，通常用於治療自身免疫性疾病，如類風濕性關節炎、克羅恩病和銀屑病
「TNF— $\alpha$ 」	指 腫瘤壞死因子— $\alpha$ ，主要由巨噬細胞和T細胞產生的細胞因子，在介導炎症和免疫反應中發揮著至關重要的作用。該細胞因子亦參與細胞增殖、分化和凋亡，並在自身免疫性疾病、慢性炎症性疾病及癌症等病理狀況中有重要意義
「外用糖皮質激素」	指 直接應用於皮膚的抗炎藥物，用於治療多種皮膚病，如濕疹、牛皮癬及皮炎
「TROP2」	指 人滋養層細胞表面抗原2，一種在許多類型的實體瘤中經常過度表達的跨膜蛋白

---

## 技術詞彙表

---

「ULT」	指 降尿酸療法，旨在降低血清尿酸水平的治療，以預防痛風發作和其他與高尿酸血症相關的併發症
「葡萄膜炎」	指 一種涉及葡萄膜(眼睛的中間層)的免疫介導的炎症性疾病，通常與強直性脊柱炎和銀屑病等自身免疫性疾病有關，或由感染及創傷等因素引發
「帶量採購」	指 帶量採購，中國政府實行的藥品集中採購政策，公共醫療機構據此通過統一招標方式批量採購藥品
「黃嘌呤氧化酶抑制劑」 或「XO抑制劑」	指 黃嘌呤氧化酶抑制劑，一類抑制黃嘌呤氧化酶的藥物，在嘌呤生成尿酸過程中起至關重要的作用。通過降低血液中的尿酸水平，該類藥物有助預防及治療痛風和高尿酸血症等病症。