

技術詞彙表

本技術詞彙表載有本文件所用與本公司及我們業務有關的若干詞彙的釋義。該等詞彙及其含義未必總是與這些詞彙的標準業界含義或用法相符，且未必可與本公司在同一行業經營的其他公司所採用的類似名稱詞彙直接比較。

「AD」	指	特應性皮炎，一種慢性、炎症性、免疫介導的皮膚疾病，以瘙癢、發炎和反覆發作的皮膚病變為特徵
「AE」	指	不良事件，指在臨床試驗中，患者或受試者接受藥物或其他醫藥產品後出現的任何輕度、中度或重度不良醫學事件，且該事件未必與治療存在因果關係
「AI」	指	人工智能
「ALS」	指	肌萎縮性側索硬化症，一種罕見、進行性且致命的神經退行性疾病，其特徵為大腦和脊髓中的上運動神經元與下運動神經元發生退化，導致肌肉無力、萎縮、痙攣，最終引發呼吸衰竭
「AML」	指	急性髓系白血病，一種預後不良的嚴重急性疾病
「抗CD20單克隆抗體」	指	靶向CD20的單克隆抗體
「ASCT」	指	自體干細胞移植
「AUC」	指	曲線下面積，一種藥代動力學參數，代表藥物在體內隨時間變化的總暴露量，其計算方法為血漿藥物濃度隨時間變化曲線下的面積
「BICR」	指	設盲獨立中央審閱
「突破性療法認定」	指	旨在加速開發和審查用於治療嚴重疾病的藥物的程序
「BTK抑制劑」	指	布魯頓酪氨酸激酶抑制劑
「CAGR」	指	複合年增長率

技術詞彙表

「CAPS」	指	冷吡啉相關週期性綜合征，一類由NLRP3基因突變引起的罕見遺傳性自身炎症性疾病，其特徵為反複或慢性全身性炎症發作，症狀包括發熱、蕁麻疹樣皮疹、關節疼痛、疲勞，嚴重時可累及神經系統和多個器官
「CAR-T」	指	嵌合抗原受體T細胞療法
「CD」	指	克羅恩病，一種慢性發炎性腸道疾病，其異常免疫反應會引發發炎，可能影響從口腔到肛門的消化道任何部位，且常深入腸壁深層
「CDK6」	指	細胞週期素依賴性激酶6，是細胞週期素依賴性激酶家族中的一種絲氨酸／蘇氨酸蛋白激酶，通過與D型週期素形成活性複合物，經磷酸化視網膜母細胞瘤(Rb)蛋白調控細胞週期從G1期向S期進展；該激酶在多種惡性腫瘤中常發生異常調控，導致細胞增殖失控，已成為腫瘤學領域的重要治療靶點
「CDMO」	指	合同開發與生產組織，是根據合同約定，為其他製藥公司開發和／或生產藥品的公司
「CHR」	指	完全血液學緩解，外周血計數恢復正常，且無證據表明存在疾病相關異常
「CMC」	指	化學、生產和控制
「CNS」	指	中樞神經系統
「CR」	指	完全緩解，一種衡量治療效果的指標：在預先設定的臨床、實驗室和／或影像學標準下，治療後所有可檢測到的癌症(或靶向疾病)跡象消失，但這並不一定意味著疾病已治癒

技術詞彙表

「冷凍電鏡」	指	冷凍電子顯微鏡，一種結構生物學技術，通過電子顯微鏡對冷凍樣本成像，以近原子分辨率可視化生物分子結構
「CRR」	指	完全緩解率，在臨床研究中達到治療完全緩解(CR)的患者比例，通常以所有可評估患者的百分比表示，依據預先設定的臨床、實驗室和／或影像學標準進行判定
「CTN」	指	臨床試驗通知
「血細胞減少症」	指	一種以血細胞數量低於正常水平為特徵的病症
「DEL」	指	雙表達淋巴瘤，MYC及BCL2的過度表達，MYC及BCL2免疫組織化學染色分別超過40%及50%
「DLBCL」	指	瀰漫性大B細胞淋巴瘤，一種侵襲性非霍奇金淋巴瘤，起源於淋巴系統B細胞
「DLT」	指	劑量限制毒性
「ECOG」	指	東部腫瘤協作組(Eastern Cooperative Oncology Group)，美國一家重要的臨床癌症研究協作組織。該組織致力於設計並開展多中心腫瘤學臨床試驗，因其ECOG功能狀態評分(ECOG PS)量表(該量表用於評估患者的功能水平及耐受抗癌治療的能力)在臨床實踐與研究領域廣為人知
「ET」	指	原發性血小板增多症，一種慢性骨髓增生性腫瘤，其特徵為骨髓中巨核細胞克隆性增殖導致血小板計數持續升高，從而增加血栓形成風險，並可能引發出血相關併發症(後者較為罕見)
「FLT3」	指	FMS樣酪氨酸激酶3，一種主要表達於造血干細胞和祖細胞的III類受體酪氨酸激酶，可調控造血細胞的早期存活、增殖與分化

技術詞彙表

「GvHD」	指	移植物抗宿主病，異基因造血干細胞或骨髓移植中一種潛在的嚴重併發症。在移植過程中，供體免疫細胞（移植物）將受體組織（宿主）識別為異物並對其發起攻擊
「HCT」	指	血細胞比容，一種實驗室測量指標，代表紅細胞在血液總體積中所佔的比例，通常以百分比表示。它常用於評估貧血或紅細胞增多症，並監測真性紅細胞增多症等疾病的治療反應
「HCT控制」	指	將血細胞比容維持在預設目標範圍內以降低疾病相關風險
「HDAC」	指	組蛋白去乙酰化酶，一種能從組蛋白及若干非組蛋白的賴氨酸殘基上移除乙酰基團的酶，可導致染色質凝縮和轉錄抑制，在基因表達調控、細胞週期控制以及包括癌症和神經系統疾病在內的多種疾病進程中發揮關鍵作用
「hERG」	指	人類乙醚相關基因，該基因編碼一種名為Kv11.1的蛋白質（即鉀離子通道的 α 亞基）
「IBD」	指	炎症性腸病
「IC ₅₀ 」	指	半數最大抑制濃度
「IC ₉₀ 」	指	百分之九十最大抑制濃度
「IND」	指	研究性新藥，其申請是監管機構啟動藥物審查流程的第一步，旨在決定是否批准開展臨床試驗

技術詞彙表

「ITC」	指	等溫滴定量熱法，一種實驗技術，用於測量兩種分子（如蛋白質與配體）在恆溫溶液中相互作用時發生的熱量變化，可直接測定結合親和力、化學計量比、焓變及熵變
「JAK」	指	Janus激酶，一類細胞內非受體酪氨酸激酶，通過JAK-STAT通路傳遞細胞因子介導的信號，包括JAK1、JAK2、JAK3和TYK2
「JAK2」	指	Janus激酶2，一種廣泛表達的JAK激酶，驅動關鍵造血生長因子的信號傳導，抑制其可治療MPN
「JAK3」	指	Janus激酶3，一種免疫細胞相關激酶，介導共同 γ 鏈細胞因子信號傳導(IL-2/4/7/9/15/21)，其抑制作用可減弱淋巴細胞驅動的炎症反應。
「KRAS抑制劑」	指	Kirsten大鼠肉瘤病毒致癌基因同源物抑制劑，RAS家族蛋白成員之一
「mDOR」	指	中位緩解持續時間
「MEK」	指	絲裂原活化蛋白激酶，一種絲氨酸／蘇氨酸蛋白激酶，作為RAS-RAF-MEK-ERK通路中的關鍵信號分子，將細胞表面的外源性生長與生存信號傳遞至細胞核，從而調控細胞增殖、分化及生存；MEK信號傳導失調與多種癌症的發生發展密切相關
「MPN」	指	骨髓增生性腫瘤，一組以一種或多種血細胞譜系過度生成為特徵的克隆性造血干細胞疾病，包括費城染色體陽性(Ph陽性)MPN(慢性髓性白血病)和Ph陰性MPN。目前世界衛生組織(WHO)的分類確定了三種典型的Ph-MPN：骨髓纖維化、真性紅細胞增多症(PV)和原發性血小板增多症(ET)

技術詞彙表

「MS」	指	多發性硬化症，一種慢性免疫介導的中樞神經系統疾病，其特徵為腦和脊髓中出現炎症性脫髓鞘及神經退行性病變，導致多種神經系統症狀，通常呈複發緩解型或進行性臨床病程
「MST」	指	微量熱泳動技術，一種生物物理方法，通過測量分子在微觀溫度梯度中的運動來定量分析分子間的相互作用，可在溶液中直接測定結合親和力及其他相互作用參數，具有耗樣量少、標記需求低且檢測設置簡便的特點
「MTD」	指	最大耐受劑量，即可給予患者而不會引起不可接受或限製劑量毒性的最高藥物或治療劑量
「mOS」	指	中位總生存期，作為臨床研究中的時間事件療效終點，定義為研究人群中50%的患者仍存活而50%因任何原因死亡的時間點，該指標可概括反映受試組的生存狀況
「mPFS」	指	中位無進展生存期，作為臨床研究中的時間事件療效終點，定義為研究人群中50%的患者出現疾病進展或因任何原因死亡（以先發生者為準）的時間點，該指標可概括性衡量治療方案延緩疾病惡化的時長
「骨髓纖維化」或「MF」	指	一種罕見的侵襲性血液癌症，其特徵為進行性骨髓纖維化，該病變會損害正常造血功能，導致血細胞減少、髓外造血（主要發生於脾臟）及全身症狀
「NDA」	指	新藥上市申請

技術詞彙表

「NHL」	指	非霍奇金淋巴瘤，是一組源自B細胞、T細胞或自然殺傷(NK)細胞的異質性淋巴惡性腫瘤，其特徵為淋巴結或淋巴結外組織中淋巴細胞的克隆性增殖，具有多種組織學亞型及臨床表現，從惰性疾病到高度侵襲性疾病不等
「NKTCL」	指	NK/T細胞淋巴瘤，一種罕見的侵襲性非霍奇金淋巴瘤，源自自然殺傷(NK)細胞或較少見的細胞毒性T細胞，最常發生於鼻腔及上呼吸消化道，與Epstein-Barr病毒感染密切相關；其特徵為局部破壞性病變、高風險全身播散，且對於晚期患者，即使採用多模式治療，預後仍然較差
「NLRP3」	指	核苷酸結合域-亮氨酸富含重複序列蛋白3，一種炎症小體，能夠感知細胞應激或危險信號並觸發促炎細胞因子的產生，其功能失調已被證實與多種炎症性疾病相關
「NRDL」	指	國家醫保藥品目錄
「ODD」	指	孤兒藥認定，即授予用於診斷、預防或治療影響患者群體規模較小的罕見疾病或病症的藥物或生物製品的特殊監管地位。該認定通過提供市場獨佔權、費用減免及監管支持等激勵措施，鼓勵開發那些在商業上可能缺乏吸引力的療法
「ORR」	指	總緩解率，作為臨床研究中的療效終點指標，定義為達到預先設定客觀腫瘤反應的患者比例，通常包含完全緩解(CR)和部分緩解(PR)，一般以所有可評估患者的百分比形式表示

技術詞彙表

「PARP1」	指	聚(ADP-核糖)聚合酶1，一種核內酶，通過催化自身及其他蛋白質添加ADP-核糖聚合物來檢測單鏈DNA斷裂並發出信號，從而招募DNA修復機制；PARP1在鹼基切除修復中發揮關鍵作用，其抑制作用可誘導同源重組缺陷腫瘤(如BRCA突變癌症)產生合成致死效應
「PCC」	指	臨床前候選藥物
「PD」或「帕金森病」	指	一種慢性、進行性神經退行性疾病，主要特徵為中腦黑質多巴胺能神經元喪失，導致運動症狀，如動作遲緩、靜止性震顫、肌強直和姿勢不穩，以及一系列非運動症狀，包括睡眠障礙、自主神經功能障礙、情緒波動和認知功能減退
「PD-1」	指	程序性死亡蛋白1，一種表達於T細胞、B細胞和巨噬細胞表面的免疫檢查點受體，其作用是關閉T細胞介導的免疫反應，作為阻止健康免疫系統攻擊體內其他病原細胞過程的一部分
「PDAC」	指	胰腺導管腺癌，胰腺癌中最常見的組織學亞型，起源於胰管上皮細胞，通常表現為侵襲性惡性腫瘤，具有早期局部侵襲、高遠端轉移傾向及預後不良的特點，這主要歸因於晚期診斷及對現有全身治療的響應有限
「PDX」	指	患者來源的異種移植瘤，一種體內癌症模型，其中來自患者體內的腫瘤組織被植入免疫缺陷動物(通常為小鼠)的對應解剖部位，從而更精確地再現人類腫瘤的組織學特徵、分子特徵、生長行為及轉移模式，並能對抗癌療法進行更具臨床相關性的評估

技術詞彙表

「PET-MF」	指	真性血小板增多症後繼發性骨髓纖維化
「藥效學」	指	研究藥物如何影響人體，包括其作用機制、治療效果及潛在副作用。
「PK」	指	藥代動力學，該術語指研究藥物在人體內的吸收、分佈、代謝和排洩過程，為藥物行為及給藥方案提供關鍵信息
「PMF」或「原發性骨髓纖維化」	指	一種慢性骨髓增生性腫瘤，其特徵為造血干細胞克隆性增殖及骨髓進行性纖維化，導致血細胞生成障礙、髓外造血（常伴脾腫大）、貧血、全身症狀，並增加進展為急性髓系白血病的風險
「Pola-R-CHP」	指	泊洛妥珠單抗、利妥昔單抗、環磷酰胺、多柔比星、潑尼松，一種由抗體偶聯藥物泊洛妥珠單抗聯合利妥昔單抗、環磷酰胺、多柔比星和潑尼松組成的聯合化療免疫治療方案，用於特定瀰漫大B細胞淋巴瘤患者的一線治療選擇
「PPV-MF」	指	真性紅細胞增多症後骨髓纖維化
「PPI」	指	蛋白質－蛋白質相互作用
「PR」	指	部分緩解
「PV」	指	真性紅細胞增多症
「QTc」	指	校正QT間期，一種通過心電圖測量的指標，用於評估心臟的部分電生理特性
「RA」	指	類風濕性關節炎
「RAF」	指	一類蛋白激酶家族，負責將激活的RAS信號傳遞至下游MEK和ERK，從而調控細胞增殖與存活

技術詞彙表

「R-CHOP」	指	利妥昔單抗、環磷酰胺、多柔比星、長春新鹼、潑尼松
「RIPK1」	指	受體相互作用絲氨酸／蘇氨酸蛋白激酶1，位於TNFR1等受體下游的核心「細胞死亡檢查點」激酶／骨架蛋白，可在NF- κ B驅動生存／炎症與凋亡／壞死性凋亡之間切換。
「RIPK2」	指	受體相互作用絲氨酸／蘇氨酸蛋白激酶2，細胞質細菌傳感器NOD1/NOD2下游的關鍵激酶適配器，驅動NF- κ B/MAPK炎症細胞因子程序
「RP2D」	指	二期推薦劑量
「SAD」	指	單次遞增劑量
「SAE」	指	嚴重不良事件，即在臨床試驗中，任何被判定與研究性治療相關、導致死亡、危及生命、需要住院治療或導致現有住院時間延長、導致持續或顯著殘疾或喪失能力、屬於先天畸形或出生缺陷、或需要干預以防止永久性損傷或損害的不良醫療事件
「實體瘤」	指	異常組織腫塊，通常不含囊腫或液體區域
「SPR」	指	表面等離子體共振，一種無標記的實時生物物理技術，通過測量傳感器表面附近的折射率變化來檢測和定量生物分子相互作用（如蛋白質－配體或蛋白質－蛋白質結合），並能直接從溶液相結合事件中獲取動力學參數（結合速率和解離速率）及結合親和力
「結構生物學」	指	分子生物學、生物化學和生物物理學的一個分支，研究生物大分子的分子結構、它們如何獲得現有結構，以及結構改變如何影響其功能

技術詞彙表

「SVR35」	指	脾臟體積縮小至少35%
「PTCL」	指	外周T細胞淋巴瘤
「TEAE」	指	治療期間出現的不良事件
「TRAE」	指	治療相關不良事件，即在醫療治療前未出現的不良事件，或因治療導致原有不良事件的嚴重程度或發生頻率加劇的情況
「TSS50」	指	總症狀評分改善至少50%
「TTR」	指	響應時間
「UC」	指	潰瘍性結腸炎
「X射線晶體學」	指	一種通過測量X射線穿透分子晶體時產生的衍射圖樣來確定分子原子級結構的方法