

技術詞彙表

本技術詞彙表載有本文件所用與本公司有關以及在本文件中就我們的業務或我們所使用的若干詞彙的解釋。該等詞彙及其涵義未必與標準行業釋義一致。

「AAV」	指	腺相關病毒，其已成為一種具吸引力的基因療法載體，可促進肌肉、眼睛、大腦、肝臟及肺部等多種組織的持續基因表達
「AAV2」	指	腺相關病毒血清2型
「AAV8」	指	腺相關病毒血清8型
「AE」	指	不良事件，即在醫療研究及藥物使用中，於治療或研究期間發生的任何不利或非預期的跡象、症狀、疾病或異常實驗室發現，不論其是否與治療有關。
「阿柏西普」	指	一種人源化重組融合蛋白，其乃一種可溶性誘餌受體，與血管內皮生長因子A和B以及胎盤生長因子的結合親和力高於人體天然受體。其被稱為誘餌受體，原因為VEGF不會與其原始受體結合，而是誤與阿柏西普結合，從而降低VEGF的活性
「AMD」	指	年齡相關性黃斑變性，一種退化性視網膜疾病，會導致中央視力逐漸喪失，亦是導致老年人不可逆轉失明的主要原因
「Ang2」	指	血管生成素-2，一種對血管形成(血管新生)至關重要的信號蛋白，對VEGF等生長因子有反應以萌生新血管，並與癌症及視網膜疾病等多種疾病有關。其透過促進血管滲漏及新生血管生長，在糖尿病黃斑水腫(DME)及年齡相關性黃斑變性(AMD)等疾病中發揮重要作用。

技術詞彙表

「AOC」	指	抗體-寡核苷酸偶聯物，屬一類嵌合分子，其結構結合了兩個重要的生物分子家族：單克隆抗體及寡核苷酸。
「抗VEGF」	指	一種透過阻斷VEGF蛋白以減緩或阻止血管異常生長所致損害的藥物
「ASO」	指	反義寡核苷酸，一種短的合成DNA或RNA鏈，旨在與特定的信使RNA (mRNA)結合以控制蛋白質的產生。
「BCVA」	指	最佳矯正視力，即某人配戴眼鏡或隱形眼鏡可達到的最清晰視力，在眼科檢查及臨床試驗中至關重要。
「BLA」	指	生物製品許可申請，乃向監管機構，例如FDA或國家藥監局提出的申請，旨在獲准將生物製品引入或交付以供引入跨州商業
「藥審中心」	指	國家藥品監督管理局藥品審評中心，為國家藥監局下屬部門，負責評估藥物臨床試驗申請、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	合同研發及生產機構，指以合約形式為製藥行業內其他公司提供服務的公司，提供藥物開發及藥物生產服務
「CHOP-INTEND」	指	費城兒童醫院嬰兒神經肌肉疾病測試，一種可靠的衡量SMA-I型及嬰兒期出現的神經肌肉疾病患者運動技能的方法。

技術詞彙表

「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執行的法規，旨在確保藥品、醫療器械及食品的生產及控制始終符合嚴格的質量標準
「CMC」	指	化學、製造及控制，指藥品開發、許可、生產及持續營銷過程中的流程
「CNS」	指	中樞神經系統，人體的主要指揮中心，由大腦及脊髓組成，負責處理信息、整合感覺輸入及產生運動輸出以控制所有身體機能。
「CRO」	指	合同研究組織，指以合約形式外包研究服務，為製藥、生物技術及醫療器械行業提供支持的公司
「CRT」	指	中心視網膜厚度，視網膜中心區域(通常在中央凹周圍)厚度的關鍵測量值，使用光學相干斷層掃描(OCT)獲取，用於診斷、監測及評估糖尿病黃斑水腫(DME)及年齡相關性黃斑變性(AMD)等眼疾的治療效果。
「DBL」	指	數據庫鎖定，指透過停止所有數據輸入及修改以最終確定數據的關鍵過程，確保數據完整、乾淨及經過驗證，以便為揭盲及統計分析做好準備，從而確定研究結果及進行監管提交。
「DLT」	指	劑量限制性毒性，指經評估與疾病進展、併發疾病或伴隨用藥無關的具臨床意義的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中第3級(嚴重)或第4級(危及生命)的標準

技術詞彙表

「DMD」	指	杜氏肌營養不良症，一種由DMD基因突變引起的進行性遺傳性(X連鎖隱性)神經肌肉疾病，導致抗肌萎縮蛋白功能失調或缺失。
「DME」	指	糖尿病黃斑水腫，一種糖尿病的嚴重併發症，因高血糖損害視網膜血管，導致液體滲漏至黃斑部
「劑量遞增」	指	早期臨床試驗(尤其是I期研究)中使用的一種流程，用以確定研究性治療的最大耐受劑量
「DRG」	指	背根神經節，一組位於脊神經背(後)根的感覺神經元細胞體，作為將觸覺、痛覺、溫度及本體感覺信號從身體傳遞到中樞神經系統(脊髓及大腦)的關鍵中繼站。
「劑量限制性毒性」	指	藥物或其他治療的副作用，其嚴重程度足以阻止該治療的劑量或水平增加
「ETDRS字母」	指	眼科檢查中測量視力的標準化工具
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局，為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的初始、首選或標準療法，因其高效且風險普遍較低而被選用
「FND」	指	眼底新生血管疾病，因視網膜中脆弱的新生血管異常生長而導致失明的眼疾。該等滲漏血管會導致出血、積液、視網膜脫離及視力喪失。該過程由過量的血管內皮生長因子(VEGF)驅動，而抗VEGF療法是主要治療方法。

技術詞彙表

「Gb3」	指	三己糖神經酰胺(Gb3, GL-3)，一種對細胞功能至關重要的鞘糖脂(細胞膜中的一種脂肪)，但當其積聚時會導致法布里病，損害血管、腎臟、心臟及神經系統中的細胞。
「GCP」	指	藥物臨床試驗質量管理規範，一項關於設計、實施、記錄及報告涉及人類受試者參與的試驗的國際倫理及科學質量標準
「基因療法」	指	旨在透過操控基因表達或改變活細胞的生物學特性以產生治療效果的醫療技術
「ILM」	指	內界膜，眼球玻璃體與視網膜之間的關鍵結構邊界，儘管可滲透小分子，但卻是基因療法、納米顆粒及幹細胞等先進療法進入更深視網膜層的重大障礙；克服此障礙是有效治療視網膜的關鍵。
「IND」	指	在研新藥或在研新藥申請，在中國亦稱為臨床試驗申請
「IVI」	指	玻璃體內注射，一種醫療程序，將藥物直接輸送到填充於眼球晶狀體與視網膜之間空間的透明凝膠狀物質玻璃體液中。該給藥方式可對多種眼部疾病進行靶向治療，例如年齡相關性黃斑變性、糖尿病黃斑水腫及視網膜靜脈阻塞
「研究者發起的試驗」 或「IIT」	指	研究者發起的試驗，指研究者構思研究、制定方案的臨床試驗
「體外」	指	拉丁語，意為「在玻璃體內」，指在正常生物環境外對細胞或生物分子進行的研究

技術詞彙表

「體內」	指	拉丁語，意為「在生物體內」，指在完整、活的生物體或細胞(通常是動物，包括人類及植物)上測試各種實體效果的研究
「MAPT」	指	微管相關蛋白Tau，編碼tau蛋白，對神經元中的微管穩定性至關重要，但其突變與阿爾茨海默病等神經退行性疾病有關。
「MeCP2」	指	甲基化CpG結合蛋白2，一種由MECP2基因編碼的關鍵蛋白，對大腦正常發育及功能至關重要，通過與甲基化DNA結合併影響染色質結構，作為一種表觀遺傳調節劑控制基因活性，尤其是在神經元中。
「nAMD」	指	新生血管性AMD，一種嚴重的黃斑變性，其異常、滲漏的血管在視網膜下生長，導致腫脹、出血、結疤及中央視力迅速喪失，是失明的主要原因
「NDA」	指	新藥申請
「NIH」	指	美國國立衛生研究院，為美國衛生與公眾服務部的一部分，是美國的醫學研究機構，作出的重大發現可改善健康及拯救生命
「國家藥監局」	指	國家藥品監督管理局，負責全面監督食品、保健品及化妝品的安全管理，是中國藥品監管的主管部門，前稱國家食品藥品監督管理局(「國家食藥監總局」)
「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切面視圖

技術詞彙表

「開放標籤」	指	一種試驗，當中研究參與者及醫護人員均知曉所給予的治療(實驗性藥物、現有治療或安慰劑)，亦稱為非盲性試驗
孤兒藥資格認定	指	授予若干稱為孤兒藥的藥物的一種身份，該等藥物在治療、預防或診斷孤兒病方面顯示出前景
「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	一項在較大參與者群體中測試新候選藥物的研究，以收集有關其是否有效及效果如何的資料
「III期臨床試驗」	指	一項針對已通過I期及II期的新候選藥物的研究，該研究在較大的參與者群體中測試該新候選藥物，並將其與現有治療或安慰劑進行比較，以確定其在實踐中是否效果更佳以及是否有重大副作用
「PIGF」	指	胎盤生長因子乃一種對血管形成(血管新生)至關重要的蛋白質，尤其是在懷孕期間的胎盤中。此外，PIGF亦涉及多種疾病，例如眼底新生血管的形成。
「潛在同類最佳」	指	一種候選產品，其公開可得的資料來源(如論文、會議期間的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及候選產品，並有潛力成為標準治療、重磅藥物或已披露研究結果的臨床開發中創新型產品。該候選產品的研究設計必須在(其中包括)適應症、患者納入及排除標準以及主要臨床研究終點方面，與代表性產品及候選產品的註冊性研究具有可比性

技術詞彙表

「蛋白工程」	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及生化機制，常透過定點突變等技術來增強穩定性及活性等特性
「rAAV」	指	重組腺相關病毒，一種小型的非致病性病毒載體，已成為體內基因療法的主要平台，亦是AAV的改良型攜帶基因版本
「研發」	指	研究及開發，指公司為創新及創造新產品或改進現有產品而進行的系統性活動，通常需要大量投資及時間。
「RNAi」	指	RNA干擾，一種生物學過程，其中RNA分子通過平移或轉錄抑制，參與雙鏈RNA對基因表達的序列特異性抑制。
「RPE」	指	視網膜色素上皮，位於視網膜下方的一層關鍵的單層色素細胞，通過輸送營養物質為光感受器(感光細胞)形成重要的屏障及支撐系統
「RP2D」	指	推薦II期劑量，指為確定進入更大規模的II期臨床試驗最合適的新藥特定劑量及方案。
「RVO」	指	視網膜靜脈阻塞，會導致血液及液體滲漏到視網膜中，引起單眼突然、無痛的視力喪失或模糊。RVO是由受損血管的血管內皮生長因子(VEGF)滲漏增加所致。

技術詞彙表

「SAE」	指	嚴重不良事件，指在人體藥物試驗中，在任何劑量下發生的任何醫療事件，其：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；導致持續或嚴重的殘疾／喪失能力；可能已導致先天性異常／出生缺陷，或需要干預以防止永久性損傷或損害
「SCS」	指	脈絡膜上腔注射，一種將藥物輸送到眼球脈絡膜上腔的醫療程序，該腔是鞏膜(白色外層)與脈絡膜(血管層)之間的潛在空間。
「SMA」	指	脊髓性肌萎縮症(SMA)，一種遺傳性神經肌肉疾病，由於脊髓中運動神經元的死亡，導致自主肌肉進行性無力及萎縮，影響運動、呼吸及吞嚥。
「SMN」	指	運動神經元存活蛋白，由SMN1基因編碼，通過幫助處理信使RNA (mRNA)及構建神經生長(軸突／樹突)所需的基本細胞機制，對維持控制肌肉運動的神經細胞(即運動神經元)至關重要。
「SR」或「SubR」	指	視網膜下注射，一種精確的眼科手術技術，將藥物、基因療法載體或細胞直接輸送到視網膜下腔，即光敏視網膜與下方的視網膜色素上皮(RPE)之間的區域。
「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	載體，可以是病毒或非病毒，用作微觀運載工具，將治療性遺傳物質(如一個正常基因)帶入患者細胞，替換或糾正有缺陷的DNA，以治療遺傳性疾病、癌症及其他疾病

技術詞彙表

「VEGF」	指	血管內皮生長因子，一種關鍵的信號蛋白，刺激新生血管(血管新生)及淋巴管的生長，對正常發育、傷口癒合及繁殖至關重要，但也涉及癌症及眼底新生血管疾病等過度生長有害的疾病。
「VEGF-A」	指	一種促進全身及眼部血管生成的生化信號蛋白。透過降低VEGF-A對其天然受體的激活，阿柏西普可減少新生血管的後續生長
「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，其作用不僅限於簡單的血管形成(血管生成)，還可作為關鍵的抗氧化劑，以對抗心臟病、青光眼及帕金森氏症等疾病中的氧化應激
「VEGFR」	指	血管內皮生長因子受體，細胞表面的一族受體酪氨酸激酶(VEGFR-1、-2、-3)，其與VEGF結合，啟動血管生長信號
「wAMD」	指	濕性年齡相關性黃斑變性，一種嚴重的AMD，其異常、滲漏的血管在視網膜下生長，導致液體及血液滲漏，從而迅速損害黃斑，導致嚴重的中央視力喪失。