

## 技術詞彙表

本詞彙表載有本文件所用若干詞彙的定義，該等詞彙與我們及我們的業務有關。其中若干詞彙未必與業內標準定義相符。

「ACC評分」	指	前房細胞評分，對眼球前房內存在的炎性細胞進行分級評估，通常通過裂隙燈檢查結合標準化評分量表來量化眼內炎症程度
「ADA」	指	抗藥抗體，免疫系統對治療藥物產生的抗體，可能影響藥物的療效、安全性或藥代動力學特性
「不良事件」	指	不良事件，指患者或臨床試驗對象在使用藥物或其他治療過程中出現的任何不良醫療事件
「AMD」	指	老年黃斑病變，一種黃斑退行性病變，為老年人群視力下降的首要誘因
「眼前節」	指	眼球前部結構，包括角膜、前房、虹膜、睫狀體及晶狀體。許多局部眼科治療主要針對眼前節
「AUC」	指	血藥濃度－時間曲線下面積，作為藥代動力學參數，反映藥物在體內隨時間推移的總系統暴露量，其計算方式為血漿藥物濃度與時間曲線下的面積
「BFS」	指	吹灌封，一種製造技術，能在單一、自動化且封閉的工藝流程中完成塑料容器的成型、灌裝與封口，從而實現無菌、一次性使用的液體藥品生產，有效降低污染風險並確保劑量高度一致
「生物利用度」	指	到達體循環的藥物劑量的比例，為藥物主要藥代動力學特性之一
「生物製品」	指	來源於活體生物或通過生物過程生產的藥品，通常由複雜的生物分子或材料構成，例如蛋白質、抗體及其他生物物質
「BQL」	指	低於合格限值，濃度測量值過小，無法賦予具體數值
「BTD」	指	突破性療法認定，是由國家藥品監督管理局授予藥物的監管狀態，基於初步臨床證據，該認定適用於針對嚴重或危及生命疾病的治療方案，且相較現有療法具有顯著療效提升
「白內障」	指	在眼睛晶狀體中形成的致密混濁區域，導致視力喪失

## 技術詞彙表

「CDMO」	指	合約開發及生產機構，以合約形式為製藥行業其他公司提供服務的公司，在藥物開發至藥物製造等方面提供綜合服務
「CFS評分」	指	角膜熒光素染色評分，一種評估角膜表面損傷的臨床檢測方法，通過向眼中滴入熒光素染料並根據形成的染色圖譜進行分級判斷損傷程度。角膜通常被劃分為五個預定義區域(中央區、下區、上區、顛區及鼻區(分別簡稱為cCFS、iCFS、sCFS、tempCFS及nCFS))，每個區域均依據標準分級量表賦予數值評分。隨後計算出角膜熒光素染色總分(簡稱「總CFS」或「tCFS」)，該分數為各區域分數之和，分數越高表明角膜表面損傷越嚴重
「C <sub>max</sub> 」	指	給藥後血液或血漿中測得的藥物最高濃度
「角膜」	指	覆蓋於虹膜及瞳孔且讓光進入內部的眼球外層的透明部分
「皮質類固醇」	指	類固醇激素，可減少體內炎症並降低免疫系統活性
「CRO」	指	合約研究機構，在合約基礎上為製藥公司提供一系列專業研究服務的公司
「CRS」	指	慢性鼻竇炎，鼻腔及鼻竇的長期炎症，伴有鼻塞、流涕、面部壓痛及嗅覺減退等症狀。慢性鼻竇炎通常分為兩種類型：伴鼻息肉的慢性鼻竇炎(CRSwNP)及不伴鼻息肉的慢性鼻竇炎(CRSsNP)
「環孢素A」或「CsA」	指	一種免疫調節劑，主要用於眼科治療乾眼症及其他炎症性眼表疾病
「細胞因子」	指	細胞釋放的小分泌蛋白，對細胞間的相互作用和通訊有特殊的影響
「DED」	指	乾眼症，一種常見的眼部疾病，表現為眼睛分泌的淚液不足或淚液蒸發過快，導致眼表損傷並引發乾燥、刺痛和視力障礙等症狀
「DME」	指	糖尿病性黃斑水腫，糖尿病患者因受損血管滲漏導致視網膜中央部位(黃斑)的腫脹
「雙盲掩蔽」	指	一種受試者及研究者均不知道特定受試者所接受治療種類的臨床試驗，有助於避免偏見或預期影響研究結果
「上皮缺損」	指	上皮細胞表層的缺損或破裂，通常指眼部角膜或結膜上皮的連續性中斷，導致下層組織暴露

## 技術詞彙表

「眼底」	指	眼球內部後部區域，包括視網膜、視神經及血管
「青光眼」	指	一組以視神經進行性損傷為特徵的眼部疾病，常伴有眼壓升高，可導致視力逐漸喪失，若不及時治療則可能致盲
「三級甲等醫院」	指	國家衛生健康委員會醫院等級劃分制度規定的中國最大、最好的區域性醫院為三級醫院，一般提供500張以上的床位，為提供高質量專業醫療服務的綜合性醫院，覆蓋地域廣，承擔著較高的學術及科研任務。三級醫院根據主管部門的評審結果分為三個子級（甲等、乙等及丙等），三級甲等醫院為三級醫院中等級最高的醫院
「IC <sub>50</sub> 」	指	在生物系統中產生50%最大抑制效應的藥物或物質濃度
「IDMC」	指	獨立數據監察委員會，一個於臨床試驗期間審閱數據以監察安全性及有效性的獨立專家小組
「免疫原性」	指	藥物（尤其是生物製品）在體內引發免疫反應的能力，包括抗藥抗體的形成
「IND」	指	新藥臨床試驗申請，其為監管機構決定是否允許進行臨床試驗的藥物審批過程的第一步
「炎症細胞因子通路」	指	細胞因子激活的細胞信號傳導通路，其可觸發或調節炎症反應。該等通路的失調可能導致多種免疫介導性疾病和炎症性疾病
「創新藥」	指	含有不曾獲批活性成分或活性成分組合的藥物，或含有現有活性成分或活性成分組合並對其結構、配方、給藥途徑或適應症進行改進的藥物。根據中國相關《化學藥品註冊管理辦法》，創新藥包括第1類藥品（創新性新藥）、第2類藥品（改良型新藥）及第5.1類藥品（已在國外上市並於中國申請批准的創新性或改良型新藥）
「干擾素」或「IFN」	指	一類由宿主細胞在應對病毒、其他病原體及免疫刺激時產生的信號細胞因子家族，作為抗病毒防禦和免疫調節的關鍵介質發揮作用
「白細胞介素」或「IL」	指	由白細胞產生的信號細胞因子家族，作為免疫細胞通信的關鍵介質，在先天免疫和適應性免疫中共同調控細胞增殖、分化、遷移及存活
「玻璃體腔」	指	眼球內部由玻璃體（位於晶狀體與視網膜之間的透明凝膠狀物質）填充的空間

## 技術詞彙表

「研究者發起的試驗」	指	一項由獨立研究者作為發起方設計並啟動的臨床研究，而非由製藥公司發起
「體外」	指	活體外進行的實驗或測試
「體內」	指	活體內進行的實驗或測試
「JAK」	指	Janus 激酶，酪氨酸激酶酶家族（包括 JAK1、JAK2、JAK3 和 TYK2），該家族通過傳遞來自多種細胞因子受體的信號參與免疫和炎症反應
「關鍵意見領袖」	指	關鍵意見領袖，即對同行的醫療實務產生影響的專業人（就醫療行業而言）
「LFA-1」	指	淋巴細胞功能相關抗原-1，一種存在於某些白細胞（包括 T 細胞）表面的蛋白質。LFA-1 是一種整合素黏附分子，能幫助免疫細胞黏附於其他細胞並遷移至組織中，在免疫反應和炎症過程中發揮重要作用
「黃斑」	指	視網膜中央附近的一個卵形染色區域，負責中央、高分辨率及彩色視覺
「MOA」	指	作用機制，即藥物在體內產生治療效果的具體方式
「NDA」	指	新藥上市申請，新藥研發主辦人通過該申請正式建議相關監管機構批准新藥銷售及上市
「NIAU」	指	葡萄膜前部非感染性炎症，常與免疫介導性疾病相關
「NK」	指	一種罕見的角膜退行性疾病，由角膜神經功能障礙引起，導致角膜敏感度降低、愈合能力減弱，並存在角膜損傷、潰瘍及視力喪失的風險
「NSAID」	指	非類固醇抗炎藥，一類無需使用類固醇即可減輕炎症的藥物
「oGvHD」	指	眼移植抗宿主病，即移植抗宿主病的眼部表現，發生於異基因造血干細胞或骨髓移植後，表現為供體免疫細胞攻擊受體眼部組織。這可能導致嚴重的乾眼症、眼表炎症、不適感和視力障礙，並顯著影響生活質量
「眼科學」	指	研究眼睛結構、功能和疾病的醫學分支
「兒童葡萄膜炎」	指	發生於兒童的眼部葡萄膜炎。其可能與全身性自身免疫性疾病相關，若未得到充分治療，可能導致青光眼或白內障等併發症
「I 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、分布、排洩，並在可能的情況下了解其藥效的早期適應症

## 技術詞彙表

「II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，初步評價該藥物對特定靶向疾病的療效，並確定劑量耐受性及最佳劑量
「III期臨床試驗」	指	對地域分散的臨床試驗點的經擴大患者群體給藥的研究，以統計學方式產生充足數據，以評估藥品的有效性及安全性以供監管審批，並為產品卷標提供充分信息
「PK」	指	藥代動力學，人體如何隨時間對藥物產生影響的研究，包括其吸收、分布、代謝和排洩
「安慰劑」	指	沒有特定藥理活性的藥物治療或製劑
「臨床前研究」	指	對非人類受試者測試候選藥物的研究，以收集有效性及安全性資料，從而決定候選藥物是否已準備就緒對人類參與者進行臨床試驗
「首選術語」	指	單一醫學概念的標準化醫學術語，作為編碼和分析安全數據的主要術語
「老花眼」	指	隨著年齡增長，眼睛聚焦近物的能力逐漸減弱，通常從40歲左右開始明顯，這是由於晶狀體逐漸硬化所致
「主要終點」	指	臨床試驗中用於評估治療是否有效的主要結果指標。該研究通常圍繞這一預先設定的終點進行設計並確定統計功效
「隨機對照試驗」	指	將受試者隨機分為不同組別，比較不同療法或其他干預措施的研究
「挽救治療」	指	旨在即刻緩解症狀的療法
「視網膜」	指	在內部覆蓋於眼睛後節的薄層組織
「rNGF」	指	重組神經生長因子，一種實驗室製備的神經生長因子製劑，用於治療性支持特定神經細胞的存活、維持和再生
「RVO」	指	視網膜靜脈阻塞，視網膜靜脈阻塞，導致視網膜水腫、出血及潛在視力喪失
「SAE」	指	嚴重不良反應，導致死亡，或危及生命，或需住院治療或導致延長現有住院時間，或導致持續或嚴重傷殘或喪失工作能力，或屬先天性異常或天生缺陷的不良反應
「SANDE評分」	指	乾眼症症狀評估問卷得出的評分，該患者自報量表採用視覺模擬量表來量化乾眼症狀的發生頻率和嚴重程度

## 技術詞彙表

「淚液分泌測試」	指	一種用於測量淚液分泌量的診斷測試，操作時將濾紙條置於下眼瞼內，在固定時間段內測量其潤濕部分的長度
「鞏膜炎」	指	鞏膜炎，即眼球白色外層（鞏膜）的嚴重且常伴疼痛的炎症。其常與系統性自身免疫性疾病相關，若未得到妥善管理，可能危及視力
「次要終點」	指	在臨床試驗中測量的結果，用於進一步評估治療對疾病其他相關方面或患者獲益的影響，超出主要終點範圍
「小分子」	指	一種低分子量化合物，能夠輕易進入細胞並與特定靶標（如蛋白質或酶）發生相互作用
「SMO」	指	臨床現場管理機構，一家為臨床試驗點管理提供營運支持的公司
「SS-DED」	指	乾燥症乾眼症，一種慢性自體免疫疾病，患者免疫系統會攻擊產生淚液與唾液的腺體，通常導致眼睛和口腔乾燥，有時也會影響其他器官
「STAT」	指	訊號轉導及轉錄激活蛋白，一類蛋白質家族，負責將細胞因子和細胞表面受體的信號傳遞至細胞核，並在核內調控特定基因的表達
「脈絡膜上腔」	指	位於眼球鞏膜（白色外層）與脈絡膜（為視網膜供血的血管層）之間的空間，可作為靶向眼部藥物輸送的途徑，尤其適用於眼球後段的藥物遞送
「全身性暴露」	指	藥物給藥後進入全身循環和人體組織的程度及持續時間，通常通過藥代動力學參數（如時間－濃度曲線）來描述
「T細胞」	指	一種在胸腺中發育的白細胞，在適應性免疫中起核心作用。主要亞群包括CD4 <sup>+</sup> 輔助T細胞（支持其他免疫細胞）和CD8 <sup>+</sup> 細胞毒性T細胞（摧毀呈遞外來或異常抗原的目標細胞）
「治療後出現的不良事件」	指	治療期間出現的不良事件，指在臨床試驗中開始研究治療後出現或加重的任何不良事件，無論是否被認為與治療相關
「淚膜」	指	覆蓋於眼睛外表皮的一層液體薄膜
「輔助性T細胞」或「Th細胞」	指	一種通過釋放細胞因子激活其他免疫細胞的T細胞，在適應性免疫系統中發揮重要作用，也被稱為CD4 <sup>+</sup> T細胞
「毒性」	指	物質或物質混合物對人類或動物造成危害的程度。急性毒性指生物體因單次或短期接觸而產生的有害影響
「黏膜給藥」	指	一種藥物遞送方法，其中藥物通過黏膜（例如口腔、鼻腔或眼部表面）進入體內，而非通過皮膚或注射途徑

---

## 技術詞彙表

---

「葡萄膜」	指	眼球的中間層，即血管層，位於鞏膜（眼白）與視網膜之間。葡萄膜由虹膜、睫狀體和脈絡膜組成
「葡萄膜炎」	指	眼部葡萄膜炎症。葡萄膜炎可按解剖部位分為前葡萄膜炎、中間葡萄膜炎、後葡萄膜炎或全葡萄膜炎，並按病因分為感染性葡萄膜炎與非感染性葡萄膜炎
「VAS」	指	視覺模擬評分法，一種患者報告結局量表，受試者需在兩個端點之間的連續刻度線上評估症狀或不適的嚴重程度
「VEGF」	指	血管內皮生長因子，一種能刺激新生血管生長的信號蛋白
「載體」	指	在藥物製劑中，用於承載活性成分並促進其給藥的惰性物質（如液體、凝膠或乳膏基質）
「VKC」	指	一種慢性複發性眼部過敏性疾病，通常影響兒童及年輕成人。該病症涉及結膜和角膜的炎症，可引發劇烈瘙癢、畏光，嚴重時會導致角膜損傷