

技術詞彙表

於本文件內，除文義另有所指外，本文件所用有關本集團及我們業務的若干詞彙的解釋及釋義具有下文所載涵義。該等詞彙及其涵義未必與標準行業涵義或用法一致。

「AAV」	指	腺相關病毒，一種小型、非病原性病毒，通常用作基因治療的遞送載體
「AD」	指	阿爾茨海默病，是一種進行性神經退行性疾病，是癡呆症最常見的成因，特徵為記憶力衰退、認知能力下降及行為改變
「ADC」	指	抗體藥物偶聯物，是一類由抗體與生物活性藥物或細胞毒性化合物連接而成的生物製藥
「AE」	指	不良事件，臨床試驗過程中服用一種藥物或其他藥劑製品的患者或臨床研究對象出現任何不良醫療事件，但不一定與治療有因果關係
「AI」	指	人工智能，使計算機及機器能夠模仿人類學習、理解、解決問題、決策、創造力和自主性的技術
「算法」	指	一組循序漸進的規則或指令，專為完成某個特定的任務或解決問題而設計，通常用於計算及數據處理
「ALS」	指	肌萎縮側索硬化症，是一種進行性神經退行性疾病，影響腦部及脊髓的運動神經元，導致肌無力、癱瘓，最終引致呼吸衰竭
「抗體」	指	亦稱為免疫球蛋白，免疫系統用來識別並結合抗原的蛋白質
「ATI」	指	I型肺泡上皮細胞，肺泡中一種薄而扁平的細胞，負責空氣與血液之間的氣體交換
「ATII」	指	II型肺泡上皮細胞，肺泡中分泌表面活性物質以降低肺泡表面張力的特殊細胞，是ATI的祖細胞
「BCMA」	指	B細胞成熟抗原，一種在漿細胞及某些晚期B細胞上表達的蛋白質，可用作旨在減少致病性抗體產生細胞的治療的靶點
「雙表位」	指	指經過改造的分子，可與同一目靶抗原或兩種不同抗原上的兩個不同表位結合，以提高結合特異性及功能活性
「BiTE」	指	雙特異性T細胞銜接器，TCE的一種亞型，由兩個單鏈可變片段組成，通過結合T細胞上的CD3及腫瘤特異性抗原，將T細胞重新導向腫瘤細胞

技術詞彙表

「bsAb」	指	雙特異性抗體，一種能同時結合兩種不同的抗原或表位的人工抗體，從而引發針對癌症或其他疾病的靶向免疫應答
「複合年增長率」	指	複合年增長率
「CAR-T」	指	嵌合抗原受體T細胞，一種細胞免疫療法，患者的T細胞經過基因改造，以表達特異性靶向腫瘤抗原的受體
「CD3」	指	分化簇3，一種與T細胞受體相關的表面蛋白，形成複合物，參與抗原識別及信號轉導
「CD16a」	指	自然殺傷(NK)細胞表面表達的一種受體，其介導抗體依賴性細胞毒性；用於在免疫療法中募集NK細胞
「CD19」	指	分化簇19，從B細胞最早期發育開始表達的一種表面蛋白，直到漿細胞末期分化，此時其表達消失
「畸變性」	指	導致染色體斷裂或結構改變
「臨床試驗／研究」	指	為驗證或找出試驗藥物的治療效果及副作用以確定該等藥物的治療價值及安全性而對人體進行的研究
「雲計算」	指	一種通過互聯網交付計算資源(如服務器、存儲、數據庫、網絡、軟件和分析)的模型，允許用戶在不管理物理基礎設施的情況下訪問可擴展的按需服務
「CMC」	指	藥品開發、授權、製造和持續營銷過程中的化學、製造與控制流程
「CNS」	指	中樞神經系統，是人體的信息處理中心，由大腦及脊髓組成
「CNS-BFS」	指	神經病學研究中心－延髓功能量表，一種用於評估延髓功能(包括說話、吞咽和流涎)的臨床工具，特別是針對患有神經系統疾病的患者
「CNS-LS」	指	神經病學研究中心－情緒不穩量表，用於評估PBA症狀的嚴重性及頻率的患者報告的結果量測，分數越高表示症狀負擔越重
「聯合(療法)」	指	單一疾病患者服用兩種或以上藥物(或其他治療劑)的治療方式

技術詞彙表

「CRO」	指	合同研究組織，為製藥、生物科技及醫療器械行業提供基於合同的外包研究服務的公司
「CRS」	指	細胞因子釋放綜合徵，當免疫系統被高度激活導致細胞因子快速和過量釋放到血流中的狀況
「DLL3」	指	delta樣配體3，一種在某些腫瘤細胞（包括小細胞肺癌及神經內分泌腫瘤）表面異常表達的跨膜蛋白，可用作免疫療法的腫瘤相關靶點
「DLT」	指	劑量限制性毒性，指規定的一次或按間隔服用的治療劑（如藥品或藥物）的特定劑量
「DM」	指	氫溴酸右美沙芬，是一種中樞性止咳劑，可調節大腦中的谷氨酸能信號，用於治療某些神經和精神疾病，包括PBA
「DPP4」	指	二肽基肽酶-4，一種負責降解GLP-1及GLP-2等腸促胰島素激素的酶
「干實驗室」	指	一種使用計算工具和模擬而非物理實驗的研究環境，通常應用於生物信息學、數據分析和理論建模等領域
「ECG」	指	心電圖，通過重複的心動週期記錄心臟的電活動
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局
「FGF」	指	成纖維細胞生長因子，是一組參與血管生成、傷口愈合及胚胎發育的生長因子。FGF信號失調與腫瘤形成有關
「基礎模型」	指	以廣泛的數據進行大規模訓練的大型機器學習模型，能夠泛化到廣泛的任務中。其為各種應用（例如自然語言處理、計算機視覺、多模態推理）中微調和專業化的基礎
「GCP」	指	良好臨床實踐，一套用於設計、進行、記錄和報告涉及人類參與者臨床試驗的倫理和科學質量標準
「生成式AI」	指	一種人工智能，通過從現有數據中學習模式並生成與訓練數據相似的輸出來創建新內容（如文本、圖像、音樂或分子結構）

技術詞彙表

「GLP-1」	指	胰高血糖素樣肽-1，一種可刺激胰島素分泌，抑制胰高血糖素釋放，減緩胃排空的腸促胰島素激素，在葡萄糖代謝中起關鍵作用
「GLP-2」	指	胰高血糖素樣肽-2，一種參與腸道生長和功能的激素，可促進營養吸收和腸道屏障完整性
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範，為符合控制產品製造及銷售的授權及許可管理機構所建議的指引而需要實施的規範
「級」	指	根據不良事件通用術語標準，使用1級、2級、3級等來表示不良事件的嚴重性的術語
「顆粒酶」	指	由細胞毒性T細胞及自然殺傷細胞釋放的絲氨酸蛋白酶家族，可通過穿孔素形成的孔進入靶細胞並誘導細胞凋亡
「GPC3」	指	磷脂酰肌醇蛋白聚糖-3，一種在肝細胞癌(HCC)中過度表達的細胞表面蛋白聚糖，被認為是腫瘤相關抗原和一種有前景的治療靶點
「HCC」	指	肝細胞癌，主要發生在潛在慢性肝病及肝硬化患者身上的肝臟原發性惡性腫瘤
「HGF」	指	肝細胞生長因子，一種刺激細胞增殖、遷移和形態發生的生長因子，尤其在肝臟和上皮細胞中。其在腫瘤生長及轉移過程中具有一定作用
「Hh」	指	Hedgehog，一種對胚胎發育及組織再生至關重要的信號通路，其異常激活與多種癌症相關
「高通量」	指	一種能夠同時快速執行大量實驗或數據處理任務的方法或系統，通常用於基因組學、藥物篩選和材料科學
「體液免疫」	指	由B細胞及其產生的抗體介導的免疫系統分支，在失調時於免疫疾病中起著核心作用
「IHC」	指	免疫組織化學，一種使用抗體檢測組織切片中特定蛋白質的實驗室方法，通常用於研究蛋白質的表達模式和定位
「IIT」	指	研究者發起的試驗，一項由醫療機構研究者主動提出並進行的臨床研究

技術詞彙表

「計算機模擬」	指	(意指實驗或分析) 使用計算機模擬或計算模型進行，通常作為體外或體內研究的補充或替代
「原位」	指	(意指過程或觀察) 直接在原始地點或環境中進行，例如在活組織、自然環境或功能系統內進行
「體外」	指	在微生物、細胞或生物分子脫離其正常生物環境的情況下進行的一類研究條件
「體內」	指	在完整、活的生物體或細胞(通常為動物(含人類)和植物)中測試各種生物實體效應的一類研究條件，與針對組織提取物或死亡生物體的研究相對
「適應症」	指	藥物、治療方法或醫療器械擬用於或獲批使用的特定病症、疾病或醫療用途
「IND」	指	研究性新藥，其申請為監管機構藥物審評流程中決定是否允許開展臨床試驗的第一步
「干擾素 γ 」或「IFN- γ 」	指	一種在誘導和調節一系列免疫反應中發揮重要作用的細胞因子
「可電離脂質」	指	一類在特定pH條件下獲得電荷的脂質，能夠有效包裹並在細胞內遞送mRNA等核酸
「ITT」	指	意向性治療人群，臨床試驗中所有隨機分組的受試者組成的群體，分析時按照其分配的治療方案進行，無論其是否按方案完成治療
「LN」	指	狼瘡性腎炎，系統性紅斑狼瘡的嚴重腎臟併發症，由免疫複合物在腎組織中沉積並引發炎症所致
「LNP」	指	脂質納米粒，一種由脂質組成的納米級遞送系統，通常用於包裹及保護mRNA等核酸類治療藥物
「機器學習」	指	人工智能的子集，涉及訓練算法從數據中學習模式，並作出預測或決策，而無需為特定任務明確編程
「mITT」	指	改良意向性治療人群，ITT人群的一個子集，通常僅包括符合特定標準的參與者，例如至少接受過一劑研究藥物的參與者
「單藥治療」	指	使用單一藥物治療某種疾病或病症的療法

技術詞彙表

「mRNA」	指	信使RNA，一種將遺傳信息從細胞核中的DNA攜帶至細胞質中的RNA分子，而蛋白質在細胞質中合成
「MTD」	指	最大耐受劑量，在臨床前或臨床研究中不會引起不可接受的副作用的藥物或治療劑最高劑量，用於指導人體試驗中的劑量
「MS」	指	多發性硬化症，一種慢性免疫疾病，其中免疫系統攻擊覆蓋神經纖維的保護性髓鞘，導致大腦與身體其他部位之間的信號傳遞問題
「致突變」	指	導致DNA序列發生改變或突變
「NKCE」	指	自然殺傷細胞銜接器，一種多特異性治療性蛋白，通過結合NK細胞受體（如CD16a）及靶細胞抗原（如CD19或BCMA），引導NK細胞識別並清除靶細胞
「NK細胞」	指	自然殺傷細胞，一種消滅受感染細胞及病變細胞（如癌細胞）的白細胞
「NHP」	指	非人靈長類動物，一類用於生物醫學研究的靈長類動物，如恒河猴或食蟹猴，其與人類在生理上的相似性為轉化研究提供支持
「國家藥監局」	指	中國國家藥品監督管理局，在其前身國家食品藥品監督管理總局的基礎上成立
「NOAEL」	指	未觀察不良反應劑量，在毒性研究中未觀察到不良反應的最高劑量，用於指導人體的安全給藥水平
「N/P比率」	指	氮磷比，這是一個關鍵配方參數，表示LNP系統中帶正電的氮原子（來源於陽離子或可電離脂質）與帶負電的磷酸基團（來源於核酸）的比率。該參數決定了包封效率、顆粒穩定性和轉染性能
「ODT」	指	口腔崩解片，一種無需用水即可在口腔中快速溶解或崩解的劑型，能提高給藥的便捷性
「PBA」	指	假性延髓情緒障礙，一種神經系統疾病，其特徵為不自主、突然且頻繁的大笑或大哭，這種大笑或大哭與患者的實際情緒狀態不成比例或無關
「PBMC」	指	外周血單個核細胞，從外周血中分離出來的一類細胞，被定義為任何具有圓形細胞核的血細胞
「PD」	指	帕金森病，一種影響運動功能的進行性神經系統疾病，引發震顫、肌肉強直、運動遲緩（動作緩慢）及姿勢不穩等症狀

技術詞彙表

「穿孔素」	指	一種由細胞毒性T細胞釋放的溶細胞蛋白，在靶細胞膜上形成孔道，從而促使細胞死亡
「藥效學」或「PD」	指	對藥物如何影響人體的研究，包括作用機制、藥物濃度與藥效之間的關係，以及治療或毒性反應
「藥代動力學」或「PK」	指	對藥物在體內的吸收、分佈、代謝和排洩的研究，其與藥效學一起影響藥物的劑量、益處和不良反應
「I期臨床試驗」	指	一項將藥物給予健康志願者或患有目標疾病或病症的患者，以評估其安全性、劑量範圍、耐受性、吸收、代謝、分佈及排洩情況，並在可能的情況下獲取初步療效數據的研究
「II期臨床試驗」	指	一項對有限數量的患者給藥，以評估藥物安全性及潛在副作用、確定劑量耐受性及最佳給藥方案，並獲取針對特定適應症的初步療效證據的研究
「III期臨床試驗」	指	一項在跨越多個臨床中心的更大規模、更多樣化的患者群體中給藥，以確認藥物療效、監測不良反應，並收集足夠的安全性及有效性數據用於監管審批及產品標籤說明的研究
「IV期臨床試驗」	指	在監管審批後進行，以監測藥物在普通人群中的長期有效性及安全性，識別任何罕見或長期不良反應，並評估藥物在真實世界中的使用表現的上市後研究
「安慰劑」	指	並無特定藥理活性的醫學治療或製劑
「臨床前研究」	指	在非人類受試者中測試藥物的研究，以收集療效、毒性、藥代動力學和安全性資料，並決定該藥物是否適合進行臨床試驗
「主要終點」	指	研究結束時評估所研究藥物效果的主要或最重要的結果
「PYY」	指	肽YY，一種腸道激素，能降低食慾並抑制胃動力，從而導致飽腹感
「Q」	指	硫酸奎尼丁，一種I類抗心律失常藥物，低劑量用於抑制右美沙芬的代謝，從而提高其生物利用度並延長其療效
「量子化學」	指	理論化學的分支，利用量子力學來研究分子和原子的電子結構、特性和反應

技術詞彙表

「RNA」	指	核糖核酸，一種存在於大多數生物體和病毒中的分子，由核苷酸組成
「RNAscope」	指	一種高靈敏度的RNA原位雜交(ISH)技術，用於在單細胞層級檢測和定位組織樣本中的特定RNA分子
「IHC」	指	免疫組織化學，一種使用抗體檢測組織切片中特定蛋白質的實驗室方法，常用於研究蛋白質的表達模式和定位
「嚴重不良事件」	指	嚴重不良事件，即導致死亡或危及生命、或需要住院治療或導致現有住院時間延長、或導致持續性或嚴重殘疾或喪失能力、或是先天性異常或先天缺陷的不良事件
「scFv」	指	單鏈可變片段，一種抗體重煉和輕鏈可變區的基因工程融合物，通過短接頭連接
「SCLC」	指	小細胞肺癌，一種高度侵襲性的肺癌，特徵為快速生長及早期轉移，且常與神經內分泌特徵及DLL3表達有關
「siRNA」	指	小干擾RNA，一類通過降解互補mRNA來沉默基因表達的短雙鏈RNA分子，通常用於治療性基因敲低
「SLE」	指	系統性紅斑狼瘡，一種免疫疾病，其中免疫系統攻擊其自身組織，導致受影響器官的廣泛炎症和組織損傷
「SORT」	指	選擇性器官靶向，一種脂質納米顆粒技術，通過改變LNP的組成，將核酸遞送至特定器官
「TAA」	指	腫瘤相關抗原，一種在腫瘤細胞表面表達但在正常細胞上不表達或僅極少量表達的抗原，使其成為癌症診斷和治療的有用靶標
「TBI」	指	外傷性腦損傷，一種後天性腦損傷，由外部機械力導致腦功能障礙而發生，通常導致認知、身體、情緒或行為障礙
「TCE」	指	T細胞銜接器，一種雙特异性抗體，旨在通過結合T細胞上的CD3及癌細胞上的腫瘤相關抗原，募集及激活T細胞以識別和殺傷腫瘤細胞
「TCR」	指	T細胞受體，一種存在於T細胞表面的分子，可識別其他細胞呈現的抗原，進而啟動免疫反應

技術詞彙表

「tdTomato」	指	一種紅色螢光蛋白，常被用作分子及細胞生物學的報告基因，以追蹤基因的表達和蛋白質的定位
「TEAE」	指	治療期間出現的不良事件，即在醫療前並無出現，或已經出現但治療後在強度或頻率上有所惡化的不良事件
「TGR5」	指	武田G蛋白偶聯受體5，一種可被膽汁酸激活的受體，用於調節能量代謝、葡萄糖穩態和腸道激素分泌
「TME」	指	腫瘤微環境，即腫瘤周圍的複雜環境，包括免疫器官、血管、基質細胞和信號分子，可影響腫瘤進展和對治療的反應
「轉染」	指	將核酸（例如mRNA或DNA）導入細胞以產生所需蛋白質或改變基因表達的過程。在脂質納米顆粒的背景下，轉染是指基因載荷在靶細胞中的成功遞送與表達
「UTR」	指	非翻譯區，即基因編碼序列兩側的序列，儘管不編碼胺基酸，但會被轉錄為前體mRNA
「濕實驗室」	指	一種實驗室，其實驗涉及液體或固體形式的生物或化學材料，需要物理處理、試劑和專門設備
「Wnt」	指	一類調節細胞增殖、遷移和分化的信號通路家族，其失調通常與癌症發展有關