

## 技術詞彙表

本詞彙表載有本文件所用與本公司及我們的業務有關的若干技術詞彙的釋義。該等術語及其涵義未必與其標準行業涵義或用途相符。

「一線治療」	指	一線治療，就任何疾病而言，一線治療是醫療機構普遍接受的治療方案，用於初步治療
「二線治療」	指	二線治療，就任何疾病而言，一線治療無效或停止發揮作用時給予的療法
「三線治療」	指	三線治療，就任何疾病而言，一線治療及二線治療均無效或停止發揮作用時給予的療法
「ADC」	指	抗體偶聯藥物
「AE」	指	不良事件，在臨床試驗期間接受藥物或其他藥品的患者或受試者出現的任何不良醫療事件，且不一定與治療有因果關係
「全人群」	指	在癌症治療中，一種不管特定的生物標誌物狀態如何，可用於全部患者的療法
「ALT」	指	丙氨酸轉氨酶，一種在肝細胞受損釋放入血液中的肝酶；ALT血液測試用於診斷肝臟疾病
「API」	指	活性藥物成分
「AST」	指	天冬氨酸轉氨酶，在全身細胞中發現的一種酶，但主要存在於心臟和肝臟中；AST血液測試用於檢測或監測肝臟損傷
「ATM」	指	共濟失調毛細血管擴張突變激酶
「ATR」	指	共濟失調毛細血管擴張突變激酶Rad3相關激酶
「AUC」	指	曲線下面積，一種藥代動力學參數，用於測量身體接觸藥物的情況，即在給藥後的給定時間內有多少藥物到達人的血液
「乳腺癌」	指	乳腺癌
「BER」	指	鹼基切除修復，一種修復氧化、脫氨基及烷基化引起的損傷的途徑

## 技術詞彙表

「BICR」	指	盲法獨立中心評審，臨床試驗中用於確保數據分析的客觀性及準確性的過程
「BID」	指	每日兩次
「生物標誌物」	指	天然存在的分子、基因或特性，藉此可以標記特定病理或生理過程、疾病等
「BRCA」	指	乳腺癌易感基因，其中有兩種類型（即BRCA1及BRCA2）。BRCA是腫瘤抑制因子編碼負責修復損傷的蛋白質。有害的BRCA突變會增加患乳腺癌及卵巢癌等各種癌症的風險
「BRCA <sub>mut</sub> 」	指	BRCA突變，乳腺癌易感基因BRCA1或BRCA2中攜帶BRCA突變
「BRCA <sub>wt</sub> 」	指	野生型BRCA，BRCA1或BRCA2的野生型
「CDMO」	指	合約開發及生產組織
「CDX」	指	細胞系衍生的異種移植物，一種臨床前癌症研究模型，將人癌症細胞系植入免疫功能低下的小鼠體內，以研究腫瘤生長、藥物療效及治療反應
「細胞系」	指	從單細胞傳代生成並含有相同生物組成的細胞群，因而產生相同的蛋白。細胞系的生產力決定生產成本，細胞系的質量直接關係到相關生物藥物的質量
「cGMP」	指	現行藥品生產質量管理規範
「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，因癌細胞的生長及繁殖速度比體內大多數細胞快很多，最常用於癌症治療
「CHK1/2」	指	檢查點蛋白激酶1及2
「CI」	指	置信區間，用於估計總體參數真實值的統計範圍
「臨床受益率」	指	在抗腫瘤藥物的臨床試驗中，晚期或轉移性癌症患者在接受治療干預時獲得完全緩解、部分緩解及病情穩定的百分比
「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

## 技術詞彙表

「CMC」	指	藥物研發生命週期中的化學、生產與控制，以確保藥物及生物藥品對消費者始終有效、安全及優質
「CNS」	指	中樞神經系統，主要由大腦及脊髓組成的神經系統部分
「試驗組」	指	作為臨床研究一部分的一組患者，其在限定的時期內具有共同的病徵或病歷並在一段時間內受到監測
「聯合療法」或 「聯合用藥」	指	使用一種以上藥物或藥物形式的治療
「CR」	指	完全緩解，治療後所有癌症跡象均消失
「CRC」	指	結直腸癌
「CRO」	指	合約研究組織
「CSCO」	指	中國臨床腫瘤學會
「CSO」	指	合約銷售組織
「CT」	指	計算機斷層掃描，一種醫學影像技術
「細胞因子」	指	泛指一類在細胞信號傳導中起重要作用的小分子蛋白，其釋放對細胞表達相應受體的行為產生影響
「細胞毒性」	指	對活細胞有毒
「DCR」	指	疾病控制率，患者對於治療出現緩解的總佔比，等於完全緩解、部分緩解及病情穩定的總和
「DHX9」	指	DExH-Box Helicase 9，一種在轉錄過程中參與mRNA前體加工的RNA解旋酶
「DoR」	指	緩解持續時間，腫瘤對治療持續產生緩解而癌症未增長或擴散的時間長度
「劑量爬坡」	指	一種研究，在該研究中，對不同劑量的藥劑（如藥物）進行對照測試，以確定哪種劑量效果最佳及／或危害最小
「劑量擴增」	指	通常為進一步評估療效、安全性、耐受性、藥代動力學及藥效學而入組更多參與者的一種研究

## 技術詞彙表

「DLT」	指	劑量限制性毒性，藥物或其他治療的毒性嚴重程度足以限制劑量增加或治療水平提高
「ECG」	指	心電圖，一種用於記錄心臟通過重複心臟週期的電活動的技術
「ECOG體能狀態評分」	指	美國東部腫瘤協作組(ECOG)為衡量疾病如何影響患者日常生存能力而制定的規範標準。ECOG活動狀態評分範圍為0至5,0表示患者活動能力完全正常，能夠不受限制地進行所有患病前活動，5則指患者死亡
「EMA」	指	歐洲藥品管理局
「ESMO」	指	歐洲腫瘤內科學會
「ES-SCLC」	指	廣泛期小細胞肺癌
「FANC」	指	編碼範可尼貧血互補組蛋白的基因。範可尼貧血是一種罕見的遺傳性疾病，與血液系統疾病及實體瘤易感性有關
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局
「首次人體」	指	在臨床前研究及動物試驗後，在人體上進行的初步臨床試驗
「FLAMES研究」	指	在中國進行的塞納帕利作為晚期卵巢癌患者一線化療後維持治療的III期註冊試驗(NCT04169997)
「GCP」	指	藥物臨床試驗質量管理規範
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範
「等級」	指	指稱不良事件嚴重程度的術語
「頭對頭試驗」	指	一項旨在評估研究性藥物與現有標準治療相比的試驗
「HER2」	指	人類表皮生長因子受體2
「HR」	指	激素受體
「HRD」	指	同源重組缺陷，一種表型，其特徵為當出現雙鏈斷裂時，細胞失去了通過HRR途徑對斷裂進行修復的能力
「HRP」	指	同源重組效率，指細胞或腫瘤利用HRR途徑成功修復雙鏈斷裂的能力

## 技術詞彙表

「HRR」	指	同源重組修復，一種修復機制，能夠實現複雜損傷的模板依賴性高保真修復
「IC <sub>50</sub> 」	指	半數抑制濃度，一種物質抑制特定生物或生化功能的活性的量度。IC <sub>50</sub> 值越低，物質越有效
「IgG」	指	免疫球蛋白G，是血液及其他體液中最常見的抗體類型，可防止細菌毒素及病毒感染
「IL」	指	白細胞介素，一種由白細胞及體內多種其他細胞表達及分泌的細胞因子
「免疫檢查點抑制劑」或「ICI」	指	一種阻斷稱為免疫檢查點（可防止免疫系統攻擊癌細胞）的蛋白質的免疫療法
「免疫療法」	指	一種通過免疫系統幫助身體對抗癌症、感染及其他疾病的療法
「體外」	指	拉丁文意為「玻璃內」，體外研究指在已脫離其慣常所在生物環境的生物體成分內進行研究
「體內」	指	拉丁文意為「生物體內部」，是指在完整的活生物體上測試各種生物或化學物質的影響，而不是在局部或死亡的生物體上，或者在體外進行研究
「IND」	指	臨床研究用新藥或臨床研究用新藥申請
「抑制劑」	指	一種與特定酶或蛋白質結合並降低其活性，從而調節生物過程的物質，通常在治療中用於阻斷疾病相關通路
「IRC」	指	獨立評審委員會
「ITT人群」	指	意向性治療人群，隨機試驗中所有隨機受試者的集合
「KOL」	指	關鍵意見領袖
「K <sub>p<sub>uu</sub></sub> 」	指	未結合的腦與血漿濃度比率，為評估中樞神經系統靶向化合物腦滲透的關鍵參數，反映腦中未結合藥物濃度與血漿中藥物濃度的比率
「白血病」	指	體造血組織（包括骨髓及淋巴系統）的癌症

## 技術詞彙表

「連接子」	指	抗體偶聯藥物的核心成分之一。連接子通過化學鍵連接抗體及有效載荷
「連接子－載荷」	指	在ADC中，連接子－載荷指治療劑，包括連接至化學結構（連接子）的劇毒藥物（載荷），其設計用於附在抗體上
「MAA」	指	藥品上市許可申請，向歐洲監管機構申請批准藥品在歐盟境內上市的申請
「MAD」	指	最大給藥劑量
「MAH」	指	上市許可持有人，持有在特定司法權區上市及分銷藥品的許可／合法授權的個人或實體
「mCRPC」	指	轉移性去勢抵抗性前列腺癌
「中位DoR」或 「mDoR」	指	中位緩解持續時間，腫瘤對治療持續產生緩解而癌症未增長或擴散的時間長度
「中位OS」或「mOS」	指	中位總生存期，患有某種特定疾病的患者的中位生存期
「中位PFS」 或「mPFS」	指	中位無進展生存期，患者在疾病沒有惡化的情況下在治療期間和治療後的中位時間
「黑色素瘤」	指	一種皮膚癌，當產生色素的細胞（也稱為黑色素細胞）突變並癌變時引發
「轉移性」	指	指任何疾病，包括癌症、致病生物體或通過血液或淋巴管或膜表面轉移到身體其他部位的惡性或癌變細胞
「MNC」	指	跨國公司
「單一療法」或 「單藥治療」	指	使用單一藥物治療疾病或病症的療法
「MRI」	指	磁共振成像，一種醫學成像技術
「MTD」	指	最大耐受劑量，不會引起不可接受的副作用的藥物或治療的最高劑量
「NDA」	指	新藥申請
「國家藥監局」	指	中國國家藥品監督管理局

## 技術詞彙表

「NR」	指	未達到
「NSCLC」	指	非小細胞肺癌
「OC」	指	卵巢癌
「ODD」	指	孤兒藥資格認定，FDA授予預防、診斷或治療罕見疾病或病症的藥物或生物製品的認定，使申辦方有資格獲得某些獎勵
「腫瘤學」	指	與腫瘤有關的醫學分支，包括對腫瘤的發展、診斷、治療和預防的研究
「ORR」	指	總體緩解率或客觀緩解率，即治療後達到完全緩解或部分緩解的患者比例
「OS」	指	總生存期，即特定疾病患者的存活時間，用於衡量藥物的療效
「載荷」	指	ADC的核心組件之一。載荷通常是通過化學連接子與抗體連接的高活性和細胞毒性分子。近年來，非細胞毒性載荷已成為腫瘤學和非腫瘤學適應症的新型ADC策略
「PARP」	指	聚(ADP-核糖)聚合酶，一個參與多種細胞過程的蛋白質家族，主要涉及複製和轉錄調控，在響應損傷的細胞存活中起重要作用
「PARP1」	指	PARP家族中含量最高的酶，主要負責檢測和修復單鏈斷裂途徑，以保持細胞的活力
「PARP1選擇性抑制劑」	指	選擇性靶向PARP1的抑制劑
「PARP1/2抑制劑」	指	同時靶向PARP1和PARP2的抑制劑
「PARP2」	指	PARP家族中含量較低的一種酶，參與修復和損傷反應，重點關注單鏈和雙鏈斷裂途徑。當PARP1受到抑制時，PARP2可以部分接管修復功能
「pCHK1」	指	磷酸化CHK1
「PD」	指	藥效學，研究藥物如何影響生物體，與藥代動力學共同影響藥物的劑量、益處和副作用
「PDX模型」	指	患者來源異種移植模型

## 技術詞彙表

「PFS」	指	無進展生存期，即患者在治療期間和治療後疾病未惡化的時間長度
「I期試驗」	指	將藥物用於健康受試者或目標疾病或病症患者體內的研究，旨在測試其安全性、劑量耐受性、吸收、代謝、分佈、排洩情況，並在可能的情況下獲得其療效的初步證據
「Ib期試驗」	指	I期臨床試驗的子集，進一步探索新療法的安全性和初步療效，通常在稍大的患者群體中進行，並可能包括對劑量和治療效果的初步評估
「II期試驗」	指	在有限的患者群體中給藥的研究，旨在確定可能的不良反應和安全風險，初步評估產品對特定靶向疾病的療效，並確定劑量耐受性和最佳劑量
「III期試驗」	指	在擴大的患者群體中給藥的研究，通常在不同地域的臨床試驗中心進行，通過嚴格控制的臨床試驗，收集足夠的數據以對藥物的療效和安全性進行統計學評估，以獲得批准，並為藥品說明書提供足夠的信息
「PK」	指	藥代動力學，衡量藥物在動物或人體內的吸收速度與完全程度，包括藥物在動物或人體中的分佈、代謝和排洩情況
「PKMYT1」	指	蛋白激酶膜相關酪氨酸／蘇氨酸激酶1，一種膜相關激酶，通過對細胞週期蛋白依賴性激酶1進行磷酸化並使其失活，對細胞周期的G2/M轉換進行負向調節
「安慰劑」	指	在對照臨床試驗中給予對照組的任何模擬醫學治療，以便區分實驗治療的特異性和非特異性效果
「鉑類化療」	指	包含鉑複合物的化療，用於治療多種類型的癌症
「PoC」	指	概念驗證
「PR」	指	部分緩解，指體內腫瘤大小或癌症範圍在接受治療後至少縮小30%但未達到100%

## 技術詞彙表

「臨床前研究」	指	在非人類受試者中開展的測試藥物的研究或計劃，旨在收集療效、毒性、藥代動力學和安全性信息，並決定該藥物是否已準備好進行臨床試驗
「主要終點」	指	臨床試驗中用於確定治療效果的主要結果指標，反映研究的主要目標，如總生存期或疾病進展
「PROTAC」	指	蛋白水解靶向嵌合體，一種新興的治療實體，旨在通過劫持泛素－蛋白酶體系統來降解靶蛋白
「QD」	指	源自拉丁語 <i>quaque die</i> ，指每日一次
「QT」	指	在心電圖上進行的測量，用於評估心臟的某些電特性
「QTcF」	指	Fridericia公式校正的QT期間，一種用於評估心臟電活動的計算方法，尤其用於藥物對心律影響的研究
「放療」	指	利用高能量殺死惡性腫瘤細胞或其他良性腫瘤細胞的治療方法
「RDC」	指	放射性核素藥物偶聯物，一種新型的藥物偶聯物，由通過化學連接子與放射性核素（一種放射性同位素）連接的抗體組成
「RECIST」	指	實體瘤療效評價標準，一套已公佈的規則，用於定義癌症患者的腫瘤在治療過程中何時好轉（「緩解」）、保持不變（「穩定」）或惡化（「進展」），重點是測量腫瘤大小及其隨時間推移的進展，以評估治療效果。該標準由國際合作團隊於2000年2月發佈，包括歐洲癌症研究與治療組織、美國國家癌症研究所和加拿大國家癌症研究所臨床試驗小組等。目前，全球大多數評估實體瘤客觀反應的癌症治療臨床試驗都使用RECIST。該標準於2000年2月制定並發佈，隨後於2009年更新
「註冊試驗」	指	需要在申獲藥物上市批准之前開展，以論證藥物臨床療效，提供安全性證據的臨床試驗或研究
「RP2D」	指	推薦的II期劑量，通常指在可接受毒性範圍內的最高劑量，一般定義為產生約20%劑量限制性毒性的劑量水平
「SABRINA研究」	指	塞納帕利單藥治療中國BRCA <sub>mut</sub> 複發性鉑敏感卵巢癌患者的II期臨床試驗(NCT04089189)

## 技術詞彙表

「SAE」	指	嚴重不良事件，任何劑量的人體藥物試驗中發生的任何醫療事件，導致死亡；威脅生命；需要住院治療或延長現有住院時間；導致持續或嚴重殘疾／喪失工作能力；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
「次要終點」	指	臨床試驗中用於評估治療效果的附加結果指標，提供有關療效及安全性的補充信息，例如生活質量或生物標誌物變化
「SL」	指	合成致死
「SMO」	指	現場管理組織，指為醫療器械公司提供臨床試驗相關服務的組織，其基礎設施和人員配備足以滿足臨床試驗方案的要求
「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（非癌症）或惡性的（癌症）。不同類型的實體瘤以形成其各自的細胞類型命名
「SD」	指	疾病穩定，根據RECIST，指在腫瘤學治療中，體內腫瘤大小或癌症範圍既沒有減小至少30%，也沒有增大至少20%
「標準療法」或「SoC」	指	醫學專家認為適合用於特定疾病並獲醫護專業人員廣泛使用的療法
「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
「TGA」	指	澳大利亞治療用品管理局
「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
「T <sub>max</sub> 」	指	達到峰濃度的時間
「TMZ」	指	替莫唑胺，一種用於治療新診斷多形性成膠質母細胞瘤和難治性間變性星形細胞瘤的口服烷化劑
「TNBC」	指	三陰性乳腺癌

---

## 技術詞彙表

---

「TRAE」	指	與治療相關的不良事件，即研究者認為在合理可能性下可能由研究藥物引起的不良事件
「TTR」	指	緩解所需時間，即從治療開始到觀察到患者實現完全緩解或部分緩解的第一個客觀腫瘤緩解（腫瘤縮小 $\geq 30\%$ ）的時間
「USC」	指	子宮漿液性癌
「USP1」	指	泛素特異性蛋白酶1，一種參與損傷反應的去泛素化酶
「WEE1」	指	一種酪氨酸激酶，可抑制CDK1和CDK2的活化，通過調節複製的啟動來維持正常的細胞週期，已知在許多癌症類型中過度表達
「野生型」	指	自然條件下的個體常見的細胞株、基因或特徵，與非典型變異類型不同
「異種移植模型」	指	在異種移植模型中，人類腫瘤細胞被植入到免疫缺陷小鼠體內，隨後給藥或聯合用藥