

## 詞彙表

本詞彙表載有本文件所用與我們及我們的業務有關的若干技術詞彙。相關詞彙及其涵義未必與業內標準定義或用法一致。

「活化部分凝血活酶時間」或「aPTT」	指	一項測量血液經由內源性及共同凝血途徑凝固所需時間的實驗室檢測，用於評估出血性疾病及監測抗凝治療
「激活素受體樣激酶7」或「ALK7」	指	一種參與TGF- $\beta$ 信號通路的受體，在代謝和炎症中發揮作用
「急性肢體缺血」或「ALI」	指	肢體灌流突然減少，對肢體生存構成潛在威脅，通常由栓塞或血栓形成引起
「不良事件」或「AE」	指	在接受藥品給藥的受試者中出現的任何不利醫療情況，且不一定與試驗干預存在因果關係
「丙氨酸氨基轉移酶」或「ALT」	指	一種主要存在於肝細胞中的肝酶，其在血液中水平升高可作為肝細胞損傷或炎症的生物標誌物
「血管緊張素原」或「AGT」	指	腎素－血管緊張素系統中的前體蛋白，可調節血壓、體液平衡和電解質穩態
「反義寡核苷酸」或「ASO」	指	一種短單鏈合成核酸序列，設計用於通過沃森－克里克鹼基配對與信使RNA (mRNA)特異性結合
「載脂蛋白(a)」或「Apo(a)」	指	一種與apoB100共價連接的糖蛋白，形成脂蛋白(a)；其水平升高是動脈粥樣硬化性心血管疾病的獨立致病危險因素
「載脂蛋白B」或「ApoB」	指	致動脈粥樣硬化脂蛋白(包括低密度脂蛋白(LDL)和脂蛋白(a))的主要結構蛋白
「載脂蛋白B100」或「apoB100」	指	在極低密度脂蛋白(VLDL)、中間密度脂蛋白(IDL)、低密度脂蛋白(LDL)和Lp(a)中存在的ApoB的全長形式，對脂蛋白裝配和膽固醇轉運至關重要
「心房顫動」或「AF」	指	一種不規則且通常較快的心律，會增加卒中、心力衰竭及其他心血管併發症的風險
「去唾液酸糖蛋白受體」或「ASGPR」	指	肝臟肝細胞表面的一種受體，可識別並內化N－乙酰半乳糖胺(GalNAc)，主要用於將siRNA遞送至肝臟

## 詞彙表

「動脈粥樣硬化性 心血管疾病」或 「ASCVD」	指	一組心血管疾病，包括冠心病、卒中及外周血管疾病，其特徵是脂質斑塊形成以及血管壁增厚和硬化，導致血管狹窄和阻塞
「自身免疫」	指	免疫系統錯誤地針對並攻擊身體自身細胞和組織的過程
「生物標誌物」	指	一種明確的特徵，作為正常生物過程、致病過程或對暴露或干預（包括治療干預）的反應的指標進行測量
「複合年增長率」	指	複合年增長率
「癌症相關血栓形成」 或「CAT」	指	與惡性腫瘤及其治療相關的靜脈或動脈血栓栓塞事件
「心血管疾病」或「CVD」	指	一個廣泛的治療領域，涵蓋一組影響心臟及血管的疾病
「致病風險因子」	指	一種生物學因子，不僅與疾病存在統計學關聯，而且已通過遺傳、機理或介入性證據證實，能直接導致疾病的發生或進展
「中樞神經系統」或「CNS」	指	由大腦和脊髓組成的系統
「CDMO」	指	合同研發生產組織
「cGMP」	指	美國食品藥品監督管理局執行的現行良好生產規範法規
「冠心病」或「CHD」	指	一種由冠狀動脈狹窄或阻塞引起的心血管疾病
「慢性腎病」或「CKD」	指	腎臟功能在數月或數年內逐漸喪失，導致廢物產物積聚及心血管疾病風險增加
「CMC」	指	與藥物開發的化學、生產和質量控制相關的活動
「凝血」	指	血液形成血凝塊以阻止出血的生理過程，涉及血小板、凝血因子和纖維蛋白形成
「隊列」	指	在臨床試驗中，於規定時間內具有共同特徵或經歷並接受長期監測的一組患者

## 詞彙表

「聯合療法」	指	同時使用兩種或多種藥物或治療方式來控制或治療疾病，通常目的是提高療效、降低耐藥性或盡量減少副作用
「冠狀動脈疾病」或「CAD」	指	一種因動脈粥樣硬化導致冠狀動脈狹窄或阻塞，進而引起心肌供血減少的疾病
「CRO」	指	合同研究組織
「CTN」	指	臨床試驗通知
「糖尿病」	指	一種以血糖水平升高為特徵的慢性代謝疾病，可導致影響心血管系統、腎臟、神經、眼睛及其他器官的長期併發症
「直接口服抗凝藥」或「DOAC」	指	一類口服抗凝藥物，可直接抑制凝血酶或因子Xa
「藥物相互作用」或「DDI」	指	一種藥物與另一種藥物同時給藥時其效果的改變，可能增加毒性或降低療效
「血脂異常」	指	一種以血液中脂質或脂蛋白含量異常為特徵的代謝紊亂
「EMA」	指	歐洲藥品管理局，負責對歐盟和歐洲經濟區內藥品的科學評估、監督及安全性監測
「肝外」	指	發生在肝臟以外
「因子XI」或「FXI」	指	血液中的一種凝血因子，當被激活(FXIa)時，在凝血級聯反應的內源性途徑中發揮作用
「因子Xa」或「FXa」	指	血液中的一種凝血因子，在凝血級聯反應的共同途徑中起核心作用
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局，負責確保藥品、生物製品和醫療器械的安全性、有效性和質量
「胰高血糖素樣肽-1」或「GLP-1」	指	一種腸促胰島素激素，可刺激胰島素分泌、抑制胰高血糖素釋放、減緩胃排空並降低食慾
「GMP」	指	質量保證中確保藥品按照其預期用途所需標準一致生產和控制的方面

## 詞彙表

「良好臨床實踐」或「GCP」	指	一套用於設計、實施和報告臨床試驗，以保護受試者及確保數據完整性的國際倫理及科學質量標準
「HbA1c」	指	當血紅蛋白與血液中的葡萄糖結合時形成的糖化血紅蛋白，用作過去兩至三個月平均血糖水平的標誌物
「肝」	指	與肝臟相關
「高密度脂蛋白」或「HDL-C」	指	一種由高密度脂蛋白顆粒運載的膽固醇類型，通常被稱為「好膽固醇」，有助於從血液中清除多餘膽固醇並將其運輸至肝臟進行排洩或再利用，從而有助於降低動脈粥狀硬化心血管疾病的風險
「高膽固醇血症」	指	血液中膽固醇水平異常升高的病症
「高脂血症」	指	血液中任何或所有脂質或脂蛋白水平異常升高的病症
「IND」	指	申請授權將研究性新藥物或生物製品用於人體
「抑制素亞基βE」或「INHBE」	指	一種在肝臟中表達的基因，參與代謝調節，是非酒精性脂肪性肝病進展的潛在生物標誌物
「體外」	指	拉丁語「在玻璃內」的意思，指在微生物、細胞或生物分子脫離其正常生物環境的條件下進行的研究
「體內」	指	拉丁語「在活體內」的意思，指在完整的活體生物或細胞（通常為動物（包括人類）和植物，與之相對的是組織提取物或死亡生物體）上測試各種生物實體效應的研究
「關鍵產品」	指	就本文件而言，我們的關鍵產品為SRSD216 和SRSD384
「脂蛋白(a)」或「Lp(a)」	指	血液中一種攜帶膽固醇的顆粒，類似於低密度脂蛋白，但含有一種稱為載脂蛋白(a)的額外蛋白
「脂蛋白(a)基因」或「LPA基因」	指	一種編碼載脂蛋白(a)的基因，載脂蛋白(a)是脂蛋白(a)的獨特蛋白組分
「低密度脂蛋白膽固醇」或「LDL-C」	指	一種通常被稱為「壞」膽固醇的膽固醇，因為其可能在血管壁積聚並引起動脈粥樣硬化疾病

## 詞彙表

「脂質代謝」	指	涉及體內脂質(包括脂肪酸、甘油三酯和膽固醇)合成、降解和利用的生化過程
「功能缺失」或「LoF」	指	一種導致編碼蛋白活性降低或喪失的基因變異或突變
「定量下限」或「LLOQ」	指	能夠以可接受的準確度和精密度可靠測量的分析物的最低濃度
「信使RNA」或「mRNA」	指	一種單鏈RNA分子，攜帶從DNA轉錄的遺傳信息，並作為蛋白質合成的模板
「混合型血脂異常」	指	一種以多種血液脂質水平同時異常(通常為低密度脂蛋白膽固醇和甘油三酯升高)為特徵的病症。混合型血脂異常是高甘油三酯血症(HTG)的一種亞型
「單克隆抗體」	指	由相同免疫細胞(克隆自一個獨特的母細胞)產生的一種抗體，設計用於以高特異性靶向並結合特定抗原，常用於診斷和治療
「單藥療法」	指	一種僅涉及一種治療方法而不與其他藥物聯合使用的治療方案
「多區域臨床試驗」或「MRCT」	指	同時在多個國家或地區進行的臨床試驗
「N-乙酰半乳糖胺」或「GalNAc」	指	一種用於將RNA藥物靶向肝細胞的分子
「NDA」	指	新藥申請，即提交予美國食品藥品監督管理局的正式提案，旨在獲批在美國銷售和使用一種新的藥品，其中包括有關藥品安全性、有效性和生產過程的數據
「國家藥監局」	指	中華人民共和國國家藥品監督管理局
「非人類靈長類動物」或「NHP」	指	除人類以外的所有靈長類物種，如猴子和猿
「脫靶效應」	指	藥物作用於非預期靶點分子引起的副作用
「寡核苷酸藥物」	指	一種使用短核酸序列靶向調節遺傳信息表達的藥物
「氧化磷脂」或「OxPL」	指	經歷氧化修飾的磷脂，與炎症及動脈粥樣硬化有關

## 詞彙表

「PCT」	指	《專利合作條約》，由世界知識產權組織管理的一項國際條約，允許發明者和公司通過提交一份國際專利申請，在多個國家同時為其發明尋求專利保護，簡化了在不同司法管轄區獲得專利權的流程，並為專利申請的初始階段提供了標準化程序
「外周動脈疾病」或「PAD」	指	一種以周圍動脈狹窄為特徵的心血管疾病，最常見於腿部，會導致血流減少
「外周血管疾病」或「PVD」	指	一種以心臟和腦外血管狹窄、阻塞或功能障礙為特徵的疾病，最常影響腿部動脈，可導致血流減少、疼痛及心血管事件風險增加
「藥效動力學」或「PD」	指	就藥物如何影響身體而進行的研究，包括研究其作用機制、治療效果及潛在副作用
「藥代動力學」或「PK」	指	就藥物如何被身體吸收、分佈、代謝及排洩而進行的研究，為藥物的行為和給藥方案提供重要信息
「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
「前蛋白轉化酶枯草溶菌素9」或「PCSK9」	指	一種由肝臟合成的蛋白，其與肝細胞表面的低密度脂蛋白受體結合，導致低密度脂蛋白受體降解，進而使血漿LDL-C水平升高，是降膽固醇藥物的治療靶點
「Q3M」	指	每三個月
「Q6M」	指	每六個月
「腎素－血管緊張素系統」或「RAAS」	指	一種基於激素的調節途徑，通過依次激活腎素、血管緊張素I和II及醛固酮來控制血壓、體液平衡和血管阻力
「RNA誘導沉默複合物」或「RISC」	指	一種參與RNA干擾的蛋白複合物，可與小RNA結合並識別和降解靶mRNA，從而抑制mRNA表達

## 詞彙表

「RNA干擾」或「RNAi」	指	一種通過小RNA分子調節mRNA表達的生物過程，可特異性降解同源mRNA並進一步抑制mRNA表達
「次要終點」	指	臨床試驗中用於評估治療效果的一個附加結果指標，提供有關療效和安全性的補充信息，如生活質量或生物標誌物變化
「嚴重不良事件」或「SAE」	指	在臨床用藥期間發生的對患者健康或生命構成重大威脅的不良事件，包括導致死亡、危及生命的情況、需要住院或延長住院時間、永久或嚴重殘疾／功能喪失，或先天性異常／出生缺陷的事件
「單次劑量遞增」或「SAD」	指	一種逐步增加藥物的單次劑量，以評估安全性和耐受性的研究設計
「siRNA」	指	一類雙鏈RNA分子，通常長度為20至25個鹼基對，通過引導互補mRNA的序列特異性降解來介導RNA干擾
「皮下」	指	在皮膚下給藥
「TGA」	指	澳大利亞藥物管理局；澳大利亞負責監管治療用品（如藥品、醫療器械和診斷測試）的機構
「組織因子」或「TF」	指	一種通過與因子VIIa結合啟動外源性凝血途徑的跨膜蛋白
「治療窗口」	指	能夠有效治療疾病且無毒性作用的藥物劑量範圍，或可以安全有效地進行特定治療的時間間隔
「血栓形成」	指	在血管內形成血凝塊，阻礙正常血流的過程
「凝血酶」	指	一種在血液凝固過程中將纖維蛋白原轉化為纖維蛋白的絲氨酸蛋白酶
「全膝關節置換術」或「TKA」	指	一種用假體部件替換膝關節承重表面的外科手術
「治療期間出現的不良事件」或「TEAE」	指	在治療期間發生的不良事件，無論其是否與藥物相關或嚴重程度如何

---

## 詞彙表

---

「甘油三酯」或「TG」	指	人體中最常見的脂肪類型。血液中的甘油三酯與心血管疾病和胰腺炎風險增加相關
「靜脈血栓栓塞症」或「VTE」	指	由於靜脈血栓形成引起的血管阻塞導致靜脈回流受損，包括深靜脈血栓形成和肺栓塞