

## 技術詞彙表

本技術詞彙表載有本文件所用與本公司及我們業務有關的若干技術詞彙的釋義。該等術語未必與業界標準定義相符，且未必可與其他公司所採用的類似詞彙作比較。

|          |   |                                                                         |
|----------|---|-------------------------------------------------------------------------|
| 「ADC」    | 指 | 抗體偶聯藥物，一類靶向生物製藥，通過化學連接子將單克隆抗體的靶點特異性與小分子藥物的細胞毒性相結合，從而實現將細胞毒性載荷選擇性遞送至腫瘤細胞 |
| 「抗體」     | 指 | 免疫系統為應對外來物質而產生的保護性蛋白質，或經工程化改造以特異性結合靶抗原，用於治療或預防疾病的治療分子                   |
| 「生物偶聯物」  | 指 | 一種通過將生物分子(如抗體或蛋白質)與另一化學實體(包括藥物、毒素、標記物或聚合物)共價結合而形成的分子，用作治療或診斷劑           |
| 「生物反應器」  | 指 | 一種旨在支持生物活性環境的容器或系統，用於在受控條件下培養細胞、微生物或組織，應用於生物製品製造的上游生產                   |
| 「生物類似藥」  | 指 | 一種生物製品，在質量、安全性和療效方面與現有獲批參照生物製品高度相似，且無臨床意義上的差異                           |
| 「雙特異性抗體」 | 指 | 一種經工程化改造的抗體或抗體片段，能夠同時結合兩種不同的抗原或同一抗原上的兩個不同表位，從而實現全新的作用機制                 |
| 「BLA」    | 指 | 生物製品許可申請                                                                |
| 「CAGR」   | 指 | 複合年增長率，一項投資或業務指標在超過一年的指定期間內的平均年增長率，且假設每年以複利穩定增長                         |
| 「CAPA」   | 指 | 糾正與預防行動，質量管理體系內的一種系統性方法，用於調查不合規情況、識別根本原因、對現有問題採取糾正措施，並採取預防措施以避免問題再次發生   |

## 技術詞彙表

|         |   |                                                                      |
|---------|---|----------------------------------------------------------------------|
| 「CDMO」  | 指 | 合同開發及生產組織，在整個產品生命週期內以合同形式為製藥及生物技術公司提供集成藥物開發及生產服務的服務供應商               |
| 「細胞系」   | 指 | 由單一祖細胞衍生的特定細胞群體，可在培養中穩定維持，並用於持續生產重組蛋白或其他生物製品                         |
| 「細胞系開發」 | 指 | 對宿主細胞系進行工程化、篩選及鑒定，使其能以具有商業可行性的水平及適當的質量屬性，穩定表達目標重組蛋白的過程               |
| 「層析法」   | 指 | 下游工藝中使用的一種分離技術，基於固定相與流動相之間的差別分配，從複雜混合物中純化目標生物分子，包括親和層析、離子交換層析及尺寸排阻層析 |
| 「CMC」   | 指 | 化學、製造及控制，界定藥物產品的鑑別、濃度、質量、純度及效力的一組信息，並描述提交予監管機構的生產工藝、規格及控制策略          |
| 「CMO」   | 指 | 合同生產組織，以合同形式為製藥及生物技術公司提供藥物生產服務的服務供應商                                 |
| 「偶聯」    | 指 | 將細胞毒性藥物載荷(通常通過連接子)與抗體或其他靶向部分共價連接，以生產抗體偶聯藥物或其他生物偶聯物的化學過程              |
| 「CPP」   | 指 | 關鍵工藝參數，其變異性會對關鍵質量屬性產生影響，因此必須予以監測及控制，以確保工藝能生產出預期產品質量的工藝參數             |
| 「CPV」   | 指 | 持續工藝驗證，在商業化生產期間對生產工藝進行的持續監測及評估，以確保其始終處於受控狀態(按ICH及GMP指南的要求)           |

## 技術詞彙表

|           |   |                                                                           |
|-----------|---|---------------------------------------------------------------------------|
| 「CQA」     | 指 | 關鍵質量屬性，物理、化學、生物或微生物性質或特徵，該等性質或特徵必須處於適當的限度、範圍或分佈之內，以確保預期的產品質量              |
| 「偏差」      | 指 | 質量管理體系中偏離已獲批准的指令、程序、規格或既定標準的情況，必須根據適用的GMP要求予以記錄、調查及解決                     |
| 「DoE」     | 指 | 實驗設計，工藝開發中所使用的一種結構化統計方法，用於系統地評估多個輸入因素與輸出響應之間的關係，從而實現高效的工藝表徵及優化            |
| 「下游工藝」    | 指 | 生物製品製造中繼生物反應器生產步驟之後的一系列單元操作，包括產品回收、層析純化、病毒滅活及去除、濃縮及配方製備，旨在將目標分子分離並純化至所需規格 |
| 「DP」      | 指 | 製劑，完成的劑型（如西林瓶、預充式注射器或凍乾粉針），包含與輔料配製而成的原液，可直接用於對患者給藥                        |
| 「DS」      | 指 | 原液，在配製成最終製劑之前的活性醫藥成分或批量純化生物材料                                             |
| 「EMA」     | 指 | 歐洲藥品管理局，歐盟負責對人類及獸用藥品進行科學評估、監督及安全監測的監管機構                                   |
| 「歐盟質量受權人」 | 指 | 歐盟質量受權人，根據歐盟法規獲得認證的專業人士，負責在藥品上市前證明每批藥品均已按照歐盟GMP要求進行生產及測試                  |

## 技術詞彙表

|        |   |                                                                         |
|--------|---|-------------------------------------------------------------------------|
| 「FDA」  | 指 | 美國食品藥品監督管理局，美國衛生與公共服務部下屬的聯邦機構，負責通過確保人類及獸用藥物、生物製品及醫療器械的安全性、療效及保障，以保護公眾健康 |
| 「FFS」  | 指 | 按服務收費，一種商業模式，在該模式下，CDMO根據為特定項目執行的特定服務、消耗的材料及使用的資源向客戶收費，而非採用固定價格或風險分擔安排  |
| 「灌裝成品」 | 指 | 在受控環境中將無菌藥物產品灌裝至其最終一級容器（如西林瓶、注射器或卡式瓶），並完成密封、貼標及包裝操作的無菌工藝                |
| 「製劑」   | 指 | 將原液與輔料結合，以生產出適合預期給藥途徑且穩定、安全及有效的藥物產品的組成及過程                               |
| 「融合蛋白」 | 指 | 一種通過將最初編碼不同蛋白質的兩個或多個基因或基因片段進行基因融合而產生的重組蛋白，旨在結合具有不同治療特性的功能域              |
| 「GMP」  | 指 | 藥品生產質量管理規範，一套監管藥品、生物製品及醫療器械產品生產的條例、守則及指南，旨在確保產品始終按照質量標準進行生產及控制          |
| 「ICH」  | 指 | 人用藥品註冊技術要求國際協調會，由監管機構及製藥行業組成，旨在為藥物開發及註冊制定統一的科學及技術指南                     |
| 「IND」  | 指 | 新藥臨床試驗申請，向主管部門（如美國FDA或國家藥監局）提交的監管申請，旨在尋求批准對受試者進行在研藥物的臨床試驗               |

## 技術詞彙表

|          |   |                                                               |
|----------|---|---------------------------------------------------------------|
| 「連接子」    | 指 | 抗體偶聯藥物中用於將細胞毒性載荷與抗體共價結合的化學部分，其設計旨在使藥物在血液循環中保持穩定，並在進入目標細胞後釋放載荷 |
| 「凍乾」     | 指 | 一種低溫脫水過程，將藥物產品冷凍後置於真空環境下，通過昇華作用去除水分，通常用於增強生物藥劑的穩定性及延長保質期      |
| 「培養基」    | 指 | 細胞培養中使用的營養液，用於支持生物反應器內細胞的生長、代謝及產能；包括基礎培養基及補充補料                |
| 「藥物類型」   | 指 | 根據其分子形式及作用機制對治療劑進行的分類，包括單克隆抗體、雙特異性抗體、抗體偶聯藥物、融合蛋白及重組蛋白         |
| 「分子類型」   | 指 | 治療分子的結構及功能類別，例如單克隆抗體、雙特異性抗體、ADC、融合蛋白、酶及多肽                     |
| 「多特異性抗體」 | 指 | 一種經工程化改造的抗體，能夠同時結合三個或更多不同的抗原或表位，旨在實現超越單特異性及雙特異性抗體的全新作用機制      |
| 「NDA」    | 指 | 新藥上市申請，向FDA提交的全面監管申請，旨在尋求批准在美國銷售新藥，其中包含臨床前和臨床研究數據及CMC信息       |
| 「NMPA」   | 指 | 國家藥品監督管理局，中華人民共和國負責藥品、醫療器械及化妝品監督與批准(包括GMP檢查及上市許可)的監管機構        |
| 「PAI」    | 指 | 獲批前檢查，是由監管機構(如FDA)實施的一項關鍵評估，旨在確保生產場地在藥品獲批上市前能夠按照規定的標準進行生產     |

## 技術詞彙表

|        |   |                                                                            |
|--------|---|----------------------------------------------------------------------------|
| 「載荷」   | 指 | 在抗體偶聯藥物中，通過連接子與抗體結合的細胞毒性藥物分子，其設計旨在於目標細胞內釋放，從而誘導細胞死亡                        |
| 「PPQ」  | 指 | 工藝性能驗證，工藝驗證的一個階段，在此階段對經設計及確認的生產工藝進行評估，以確認其具備進行可重複商業化生產的能力，且能始終符合所有預定義的驗收標準 |
| 「工藝表徵」 | 指 | 對生產工藝進行的系統性研究，旨在識別及理解工藝參數與產品質量屬性之間的關係，從而建立已證明可接受範圍，並支持控制策略的制定              |
| 「工藝開發」 | 指 | 對生物製品生產工藝進行系統性設計、優化及規模化，涵蓋細胞系開發、上游及下游工藝開發、製劑配方開發及分析開發                      |
| 「工藝驗證」 | 指 | 從工藝設計階段到商業化生產期間對數據進行的收集及評估，旨在建立科學證據，證明工藝能夠始終如一地交付符合其預定質量屬性的產品              |
| 「QA」   | 指 | 質量保障，質量管理體系內的系統性活動及職能，旨在確保各項工藝足以使產品符合質量要求，側重於通過工藝監督預防缺陷                    |
| 「QbD」  | 指 | 質量源於設計，一種系統性的藥物開發方法，始於預定義的目標，並在整個產品生命週期內強調對產品及工藝的理解、工藝控制及風險管理              |
| 「QC」   | 指 | 質量控制，為驗證材料、中間體及成品是否符合既定規格及質量標準而進行的實驗室檢測及操作活動                               |

## 技術詞彙表

|            |   |                                                                                 |
|------------|---|---------------------------------------------------------------------------------|
| 「重組蛋白」     | 指 | 由經基因工程改造的宿主細胞生產的蛋白質，而該等宿主細胞已引入編碼目標蛋白的基因，從而實現難以從天然來源分離的治療性蛋白質的大規模生產              |
| 「樹脂」       | 指 | 下游工藝中使用的固相層析介質，用於從工藝雜質中選擇性捕獲或分離目標生物分子，包括用於抗體純化的蛋白A樹脂及用於精製步驟的離子交換樹脂              |
| 「不鏽鋼生物反應器」 | 指 | 一種由不鏽鋼製成的固定、可重複使用的生物反應器，專為生物製品的大規模商業化生產而設計，具有高耐用性，可擴展至6,000L及以上容量，並具備既定的清潔及滅菌規程 |
| 「病毒清除」     | 指 | 一系列專門的單元操作(如低pH值滅活、溶劑／去污劑處理及納米過濾)，旨在根據ICH及監管指南的要求，在生物製品的下游工藝過程中去除或滅活潛在的病毒污染物    |