技術詞彙表

以下為本文件所用而與我們及／或我們的業務有關若干詞語的詞彙表。因此，該等詞語及其涵義未必與標準行業涵義或該等詞語的用法一致。

「抗體偶聯藥物」	指	抗體偶聯藥物，一種具備前景的癌症治療方式，能夠選擇性向腫瘤遞送有效細胞毒性載荷
「抗體偶聯藥物」	指	抗體偶聯藥物，一類靶向治療藥物，由單克隆抗體與強效細胞毒性藥物(有效載荷)通過化學方式連接而成。抗體部分可選擇性結合癌細胞表面過表達的抗原，實現將細胞毒性載荷精準遞送至腫瘤細胞
「藥品不良反應」	指	正常治療劑量下試驗藥在人體中引起的非預期性藥物有害反應
「不良事件」	指	在藥物使用或臨床試驗期間出現的非預期醫療事件，無論其與藥物是否存在因果關係，均需在安全性與耐受性評估中，對其嚴重程度、嚴重性、因果關係、分級及轉歸情況進行評估
「AGA陽性」	指	一種提示患者血液中存在抗麥膠蛋白抗體的診斷或生物標誌物狀態。AGA為針對麥膠蛋白的自身抗體，麥膠蛋白是麩質的組成成分
「AIDD」	指	AI驅動藥物設計，將人工智能應用於新型治療化合物的發現與設計流程，特別是機器學習、深度學習及相關計算技術
「AKT激活」	指	絲氨酸／蘇氨酸激酶AKT發生磷酸化並實現功能激活的過程，通常經由磷脂酰肌醇3-激酶依賴性信號通路介導
「變構抑制劑」	指	一種酶或蛋白抑制劑，與活性位點以外的位點(變構位點)結合，引起靶蛋白的構象變化，從而降低或阻止其生物活性
「AML」	指	急性髓系白血病，一種快速進展的血液及骨髓癌症，特徵為異常髓系前體細胞(母細胞)過度增殖，進而干擾正常造血功能
「血管生成」	指	依托既存血管形成新生血管的生理過程，為組織生長、傷口癒合及胚胎發育所必需
「AUC」	指	濃度 — 時間曲線下面積，血漿藥物濃度 — 時間曲線下面積
「BID」	指	每日兩次，24小時內發生兩次的事件或行為
「生物利用度」	指	活性成分被吸收並在作用部位達至可利用狀態的速率與程度

技術詞彙表

「生物標誌物」	指	可衡量的生物學指標，用於評估正常生理進程、病理狀況及治療干預應答
「BIW」	指	每週兩次，指在7天內發生兩次的事件或行為
「BRAF抑制劑」	指	一類靶向治療藥物，可選擇性抑制MAPK/ERK信號通路關鍵組成BRAF蛋白激酶的活性
「BRCA1/2突變型腫瘤」	指	攜帶有BRCA1或BRCA2基因突變的惡性腫瘤，對DNA雙鏈斷裂的同源重組修復(HRR)至關重要
「突破性療法認定」	指	由藥品監管機構授予臨床開發階段臨床試驗用藥物的一項具有權威性與重要意義的監管資質
「C_{max}」	指	血漿達峰濃度，指藥物給藥後在血漿中達到的最高濃度，通常於臨床藥代動力學研究中觀測獲得
「CIN」	指	染色體不穩定，即細胞分裂時整條染色體或染色體大片段結構變異頻率上升的細胞狀態
「臨床試驗」	指	針對人體開展的研究試驗，用於評估新治療的療效與安全性
「表觀清除率」	指	清除率，一項藥代動力學基礎參數，可衡量機體或特定器官對體循環內藥物的不可逆清除能力
「CNS」	指	中樞神經系統，人體整個神經系統的主要指揮及處理中樞，由腦與脊髓組成
「聯合療法」	指	在單個病症中同時使用兩種及以上不同藥物的治療策略
「CSCO」	指	中國臨床腫瘤學會，為中國領先的全國性臨床腫瘤專業學術團體
「CTCAE」	指	通用不良事件術語標準，一套綜合性的標準化分類體系，用於對參與癌症治療及其他干預手段臨床試驗的患者所出現不良事件的嚴重程度進行分級
「DCR」	指	疾病控制率，指依據國際公認的療效評估標準，經治療後達到完全緩解、部分緩解或疾病穩定狀態，並能維持至最短持續時間要求的患者佔比

「劑量限制性毒性」	指	劑量限制性毒性，界定抗癌藥物最大耐受劑量的嚴重不良反應。除藥物自身特定作用機制外，常見誘發因素涵蓋炎症、細胞凋亡、離子紊亂及組織特異性酶缺陷
「DoR」	指	緩解持續時間，自首次記錄到客觀緩解(如完全緩解或部分緩解)起至疾病進展或死亡(以先發生者為準)所經過的時間
「EGFR」	指	表皮生長因子受體，一種嵌入上皮細胞及間充質細胞、骨細胞、血液細胞、免疫細胞、心肌細胞、神經膠質細胞及神經干細胞外層細胞膜的蛋白質
「EGFR-TKI」	指	表皮生長因子受體酪氨酸激酶抑制劑。第一代EGFR-TKI指靶向致敏EGFR突變的可逆性EGFR酪氨酸激酶抑制劑，已獲批的示例包括吉非替尼及厄洛替尼。第二代EGFR-TKI指不可逆的ErbB家族抑制劑，已獲批的示例包括阿法替尼及達克替尼。第三代EGFR-TKI指設計用於靶向致敏EGFR突變及耐藥突變(如T790M)的突變選擇性、不可逆EGFR酪氨酸激酶抑制劑，奧希替尼為一個具代表性的已獲批示例
「EOT」	指	治療結束，經主治醫生或多學科團隊釐定的特定計劃性醫療干預療程的正式結束時點
「ERKi」	指	ERK抑制劑，一類可特異性調控細胞外信號調節激酶(ERK)的靶向治療藥物，該通路為絲裂原活化蛋白激酶(MAPK)信號傳導通路的核心組成部分
「FAS」	指	全分析集，指一種意向性治療分析集，其盡可能完整且貼近理想狀態，納入所有隨機入組的臨床試驗受試者
「FBDD」	指	基於片段的藥物設計，指一種合理的藥物發現方法，該方法可篩選出能與特定生物靶點發生弱結合、但結合作用可被檢測的低分子量化學片段
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局，美國衛生與公眾服務部下屬的聯邦政府機構，負責通過對食品安全、藥品、醫療器械、生物製品、化妝品、煙草製品及輻射發射類產品的監督與管理，保護並促進公眾健康
「FOLFIRINOX」	指	該化療聯合方案包含的藥物為亞葉酸鈣(亞葉酸)、氟尿嘧啶、鹽酸伊立替康及奧沙利鉑
「GDP結合」	指	GTP酶與二磷酸鳥苷結合時所處的非活性構象

「基因組瘢痕」	指	由易錯DNA修復通路作用所產生的可量化基因組變異模式，尤其見於同源重組缺陷(HRD)的情形。其可作為評估HRD狀態及指導PARP抑制劑等治療方案的核心生物標誌物
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範，確保產品能夠依據質量標準持續生產及控制的標準與指引，涵蓋生產流程、設施、文件記錄及質量控制等
「HGSOC」	指	高級別漿液性卵巢癌，卵巢癌的一種，當卵巢、輸卵管或腹膜中的細胞不受控制地生長時發生
「HRAS」	指	HRas原癌基因，GTP酶是一種蛋白質編碼基因。與HRA相關的疾病包括costello綜合征及schimmelpenning-feuerstein-mims綜合征
「HRD」	指	同源重組缺陷，精準腫瘤學中的關鍵生物標誌物，通過受損的DNA雙鏈斷裂修復驅動卵巢癌和乳腺癌的治療策略
「HRR/HR-DDR」	指	同源重組修復／DNA損傷修復，一種高保真、模板依賴性DNA修復途徑，可在細胞週期的S期及G2期精確修復DNA雙鏈斷裂及鏈間交聯
「ICF」	指	知情同意書，一份法律及倫理文件，作為患者或參與者在被提供並理解所有相關信息後自願同意接受特定醫療程序、治療或參與研究過程的書面記錄
「IGF」	指	類胰島素生長因子，一種分子結構與胰島素相似的激素。其在兒童生長發育過程中發揮核心作用，並於成年階段持續產生合成代謝效應(促進組織生成)
「IRC」	指	獨立審查委員會，一個由多學科專家組成的自治小組，為臨床試驗或其他重要研究工作提供外部、公正的監督
「JAK/STAT」	指	動物體內用於傳導大量發育及穩態信號的少數多效性級聯之一
「JDC」	指	聯合開發委員會，該委員會負責監督項目的規劃、實施及管理，確保實現合作的目標及目的
「JSC」	指	聯合指導委員會，由兩個或多個組織、企業或團體的代表組成的協作小組，其任務是監督、指導及制定與特定項目、倡議或計劃有關的決策

「KOL」	指	關鍵意見領袖，在特定領域、行業或社區中被公認為專家和值得信賴的洞察力來源的個人或實體。彼等的意見及認可具有重要影響力，可影響目標受眾的態度、行為及購買決定
「$KRAS^{G12C}$」	指	KRAS基因中的一種特定致癌突變，其中密碼子12處的甘氨酸(G)被編碼的KRAS蛋白中的半胱氨酸(C)取代
「LOH」	指	雜合性丟失，為二倍體細胞中發生的一種基因組異常，具體表現為特定基因位點的雜合狀態消失，最終導致該位點呈現半合子狀態
「LST」	指	大規模狀態轉換，染色體斷裂產生10 Mb或更大的片段。該等斷裂的定量可用作基因組不穩定性的替代測量，基因組不穩定性可由DNA修復基因(包括BRCA1或BRCA2)的突變引起
「MAPK」	指	絲裂原活化蛋白激酶，絲氨酸／蘇氨酸特異性蛋白激酶家族，在真核生物中高度保守，在將細胞外信號轉導到細胞內反應中起核心作用
「MAT2A」	指	蛋氨酸腺苷轉移酶2A，蛋氨酸循環中的限速酶，主要催化蛋氨酸和三磷酸腺苷合成S-腺苷甲硫氨酸
「MET擴增」	指	一種以MET原癌基因拷貝數增加為特徵的基因變異，該基因編碼肝細胞生長因子受體
「mPFS」	指	中位無進展生存期，臨床試驗中用於評估治療療效的生存終點，定義為從隨機分組到疾病進展或任何原因死亡的時間
「MSI」	指	微衛星不穩定性，一種以微衛星突變積累為特徵的病症，微衛星是短的重複DNA序列，在癌症診斷和治療中具有重要意義
「MTA」	指	甲硫腺苷，一種存在於所有哺乳動物組織中的天然含硫核苷
「MTAP」	指	甲硫腺苷磷酸化酶，一種可催化多胺生物合成副產物—5'-甲硫腺苷發生可逆磷酸解反應的酶
「MTD」	指	最大耐受劑量，即動物可耐受且不會出現致死效應的最高劑量
「NALIRIFOX」	指	化療組合包含伊立替康脂質體(Onivyde)、奧沙利鉑、氟尿嘧啶及亞葉酸鈣
「NCCN」	指	國家綜合癌症網絡，該指南旨在幫助指導高質量患者護理

「NDA」	指	新藥上市申請，即藥品申辦者向監管機構(如美國FDA或中國國家藥監局)提交的綜合監管文件，以尋求批准新藥產品的上市及商業化
「NRAS」	指	NRAS是編碼參與信號轉導的GTP酶蛋白的原癌基因
「NSCLC」	指	非小細胞肺癌，肺癌的一種亞型
「ORR」	指	客觀緩解率，臨床試驗中接受特定治療後腫瘤體積出現預定縮小或腫瘤完全消失的患者比例
「OS」	指	總生存期，從診斷日期或開始治療日期至任何原因死亡的時間長度
「pan-TEAD」	指	一種泛TEAD抑制劑，可抑制全部四種TEAD亞型的活性，即TEAD1、TEAD2、TEAD3及TEAD4
「PARP」	指	聚(ADP-核糖)聚合酶，一種參與DNA修復、細胞應激反應及凋亡的關鍵酶，在維持基因組穩定性中起重要作用
「PBMCs」	指	外周血單核細胞，在血流中循環的多種免疫細胞群，包括淋巴細胞(T細胞、B細胞及NK細胞)和單核細胞
「PD」	指	藥效動力學，研究藥物的生化和生理作用及其在體內的作用機制
「PD-1」	指	程序性細胞死亡受體1，一種主要在活化T細胞、B細胞及髓樣細胞表面表達的免疫檢查點受體蛋白
「PDAC」	指	胰腺導管腺癌，胰腺癌的一種形式，起源於胰腺導管內的上皮細胞，具有早期局部侵襲、快速轉移及對常規治療的嚴重耐藥性的特徵
「PDGF」	指	血小板衍生生長因子，一種強效的信號蛋白(細胞因子)，可刺激細胞生長、增殖及存活。其對於血管生成(血管新生)及結締組織細胞的生長發育尤為重要
「PDX模型」	指	患者來源異種移植模型，癌症研究的先進工具。彼等通過將人類腫瘤組織植入免疫系統受損的特殊培育的小鼠體內而開發
「PFS」	指	無進展生存期，從隨機分組或治療啟動到疾病進展或任何原因導致死亡的時間長度，以先發生者為準
「1期」	指	將藥物引入健康人類受試者或患有目標疾病或病症的患者，並測試其安全性、劑量耐受性、吸收、代謝、分佈、排泄，盡可能獲得其有效性的早期跡象的研究

技術詞彙表

「2期」	指	將藥物施用於有限的患者群體，以確定可能的不良反應及安全風險，初步評估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的研究
「PI3K/AKT」	指	由許多類型的細胞刺激或毒性損傷激活並調節轉錄、翻譯、增殖、生長及存活等基本細胞功能的信號通路
「PK」	指	藥代動力學，研究藥物在體內的吸收、分佈、代謝及排泄，連同藥效學影響藥物的劑量、益處及副作用
「PR」	指	部分緩解，根據國際公認的實體瘤緩解標準定義的一類腫瘤對治療的緩解，其中靶病灶的最長直徑總及較基線減少≥30%，無新病灶或非靶病灶明確進展
「PRMT5」	指	蛋白質精氨酸甲基轉移酶5，一種參與基因表達調節、RNA加工、DNA損傷修復及免疫反應的酶
「PTP」	指	蛋白酪氨酸磷酸酶，多種信號轉導通路的關鍵調節因子，因此其在多個細胞過程中起重要作用，包括免疫反應
「QD」	指	每日一次，標準劑量學術語，表示每24小時一次的給藥頻率
「RAS信號通路」	指	關鍵的細胞內信號轉導機制之一，在調控細胞生長、分化及增殖等多項生理過程中發揮核心作用
「RAS/ERK」	指	細胞增殖、分化及存活等細胞進程的關鍵調控因子，驅動發育的核心機制
「R_{Auc}」	指	蓄積比，量化穩態時藥物濃度相較於單次給藥後藥物濃度高出倍數的指標
「RDEs」	指	擴展推薦劑量，指為後續患者隊列(即擴展隊列)開展進一步研究而選定的一個或多個劑量水平。選定依據為早期臨床試驗初始劑量探索階段所收集的、關於安全性、耐受性、藥代動力學及初步療效的整合數據
「RP2D」	指	2期推薦劑量，基於劑量探索(遞增)階段、通常包括劑量擴展階段的全部可用數據的全面整合，選定用於後續2期臨床試驗進一步評估的劑量及方案
「RTKs」	指	受體酪氨酸激酶，一類在多種細胞進程中發揮關鍵作用的蛋白激酶，包括細胞遷移、形態分化、細胞增殖及血管生成

「SAM」	指	S-腺苷蛋氨酸，一種天然存在的三烷基鋶分子，通常與生物甲基轉移反應有關
「SAR」	指	構效關係，指化合物的化學結構與其生物活性之間的關聯性，可通過設計、合成、篩選及分析的迭代循環過程予以分析
「SBDD」	指	基於結構的藥物設計，一種合理的、迭代的藥物發現方法，利用生物靶點(通常是蛋白質或核酸)的三維原子結構來指導新的、有效的和選擇性的治療化合物的創造、優化及開發
「SD」	指	病情穩定，腫瘤未出現顯著增大或縮小，無新的腫瘤發展
「SDMA修飾」	指	一種翻譯後修飾，其中在精氨酸殘基上的兩個氮原子中的每一個上添加一個甲基，關鍵殘基包括H3R2及H4R3，賦予獨特的調節功能
「SHP2抑制劑」	指	設計用於選擇性抑制SHP2活性的一類治療藥物。SHP2通過去磷酸化酪氨酸殘基及調節多種信號通路來調節細胞增殖、分化、凋亡及存活，包括RAS/MAPK、PI3K/AKT、JAK/STAT及PD 1/PD L1
「SPR」	指	結構-性質關係，基本的科學原理，即一種材料或分子的性質(化學、物理、機械、生物或電子)本質上是由其在原子、分子或超分子水平上的結構決定
「TAI」	指	端粒等位基因失衡，指一種基因組變異，其特徵為因有絲分裂期間DNA複製或修復異常，導致染色體臂端粒區域出現等位基因劑量不對稱
「TEAE」	指	治療期間出現的不良事件，指在藥物給藥期間或給藥後短期內發生、且基線狀態時未出現的任何不良事件，無論是否建立確定的因果關係
「TKI」	指	酪氨酸激酶抑制劑，一類可與酪氨酸激酶催化結構域的三磷酸腺苷結合位點競爭的小分子
「TNBC」	指	三陰性乳腺癌，乳腺癌的一種亞型
「TOP1」	指	DNA拓撲異構酶I，可編碼DNA拓撲異構酶I
「TRAE」	指	治療相關的不良事件，與研究藥物明確或可能相關的不良事件
「TRSAE」	指	治療相關的嚴重不良事件，一個臨床試驗及上市後監測期間所記錄不良事件的關鍵子集

「TTR」	指	緩解時間，從特定治療啟動或既定基線節點起直至首次觀察到預先設定的、具有臨床意義的應答的測量時長
「II型糖尿病」	指	一種以胰島素抵抗及相對性胰島素缺乏為特徵的慢性代謝性疾病，引發持續性高血糖
「UC」	指	尿路上皮癌，一種起源於尿路上皮內層的上皮惡性腫瘤，包括腎盂、輸尿管、膀胱、部分後尿道和前列腺主要導管
「Vd/F」	指	分佈容積，一項理論藥代動力學參數，用於量化為使血漿中達到觀測濃度，給藥劑量所需均勻分佈的表觀容積
「WGD」	指	全基因組加倍，細胞在單個有絲分裂週期內發生整套染色體複製，導致基因組從二倍體(2n)向四倍體(4n)轉變的遺傳學事件
「WRN」	指	沃納綜合征RecQ解旋酶，一種典型的節段性早老樣綜合征，具有多種與加速衰老相符的特徵