

## 技術詞彙

本技術詞彙載有本文件所用若干詞彙的定義，該等詞彙與我們及我們的業務有關。其中若干詞彙未必與業內標準定義相符。

「2-HG」	指	2-羥基戊二酸，丁酸甲酯代謝途徑的一部分，在人體內可由磷酸甘油酸脫氫酶合成
「3+3劑量遞增設計」	指	基於規則的劑量遞增計劃，首先將最低劑量分配至第一組別，然後根據所觀察的DLT相應遞增或遞減，並加以反復，直至取得MTD或試驗停止
「7+3化療方案」	指	7天阿糖胞苷及3天道諾黴素，一種化療方案的縮寫
「 $\alpha$ -KG」	指	$\alpha$ -酮戊二酸，一種生物化合物，谷氨酸脫氨基產生的酮酸，以及克雷布斯循環中的中間體
「活性成分」	指	藥物中所含的生物活性物質
「ADA」	指	腺苷脫氨酶，一種參與嘌呤代謝的酶，過程中催化腺苷和脫氧腺苷產生肌苷和脫氧肌苷
「ADME」	指	吸收、分佈、代謝及排洩
「ADCC」	指	抗體依賴性細胞介導的細胞毒性或抗體依賴性細胞毒性，一種細胞介導的免疫防禦機制，免疫系統的效應細胞主動裂解靶細胞，其膜表面抗原已被特異性抗體結合
「不良事件」	指	不良事件，患者或臨床試驗受試者於臨床試驗中接受一種藥物或其他醫藥產品後出現的不良醫療事件，但不一定與治療有因果關係

## 技術詞彙

「AML」	指	急性髓性白血病，一種骨髓細胞系的癌細胞，其特徵是在骨髓和血液中積聚的異常細胞快速生長並干擾正常血細胞
「APC」	指	抗原呈遞細胞
「細胞凋亡」	指	程序性細胞死亡
「ASM」	指	攻擊性SM，一種SM形式，其特徵在於肥大細胞在不同組織中的大量滲透
「測定」	指	進行分析以確定(1)物質的存在和該物質的量以及(2)藥物的生物學或藥理學效能
「ATC」	指	甲狀腺未分化癌，一種甲狀腺癌，由於其攻擊性行為和對癌症治療的抵抗力而預後不良
「雙特异性」	指	將兩種抗原識別元件組合成單一構建體的抗體，能夠同時結合兩種不同的抗原
「BLA」	指	生物藥物許可申請
「原始細胞」	指	免疫血細胞
「原始細胞數量」	指	骨髓、血液或其他所示地方的原始細胞百分比
「BRAF V600E突變」	指	在若干類型的癌症中發現的BRAF基因的特定突變(變化)，包括黑素瘤和結腸直腸癌，其導致絲裂原活化蛋白激酶途徑和細胞生長的連續激活。
「橋接試驗(研究)」	指	在新地區進行的補充試驗或研究，旨在提供關於將允許把外國臨床數據外推至新地區的新地區療效、安全性、劑量及給藥方案的藥效學或臨床數據

---

## 技術詞彙

---

「BTCA」	指	鈍性創傷性心臟驟停，乃一種臨床適應症，其表現為心臟因鈍挫傷停止跳動
「BTK」	指	布魯頓酪氨酸激酶，人體內由BTK基因編碼的一種酶
「CAPA」	指	糾正措施和預防措施，包括對組織為消除不合規或其他不良情況的原因而採取的流程的改進
「癌瘤」	指	一種在器官的表層（上皮細胞）開始的癌症
「CDC」	指	補體依賴的細胞毒作用，一種補體系統的功能，通過破壞其膜而不涉及免疫系統的抗體或細胞來殺死病原體
「CDE」	指	藥品審評中心
「CDK4/6抑制劑」	指	任何抑制細胞週期蛋白依賴性激酶4和6功能的化學物
「細胞株」	指	從單細胞傳代生成並含有相同基因組成的細胞群，因而產生相同的蛋白
「cGMP」	指	現行藥品生產管理規範
「化療」	指	一類使用一種或多種抗癌化學治療劑作為其標準化療法的一部分的癌症治療
「cHL」	指	經典型霍奇金淋巴瘤，一類由淋巴系統引起的癌症
「Choi標準」	指	對關注靶病變大小及密度的靶向療法進行療效評估的一種方法

## 技術詞彙

「CMC」	指	醫藥產品的開發、許可、製造和持續營銷的化學、製造和控制流程
「CMO」	指	合約製造機構，一家為製藥行業的其他公司提供合約服務的公司，從藥物開發到藥品製造提供全面的服務
「同期群」	指	作為臨床研究的一部分的一組患者，其在限定的時期內具有共同的特徵或經歷並且隨時間被監控
「結直腸癌」	指	一種發生於結腸或直腸的癌症，位於消化道的下端
「聯合療法」	指	給予患者兩種或多種藥物（或其他治療劑）用於單一疾病的治療
「CR」	指	完全緩解或完全回應
「CRh」	指	完全緩解，部分血液恢復
「CRO」	指	合約研究機構，以按合約外包研究服務的形式向製藥，生物技術和醫療裝置的行業提供支援
「CT」	指	計算機斷層攝影術
「臨床試驗協議」	指	臨床試驗協議
「CTL」	指	細胞毒性T淋巴細胞，一種以其他方式殺死癌細胞、感染的細胞（特別是病毒）或受損細胞的T淋巴細胞（一種白細胞）
「CTLA-4」	指	細胞毒性T淋巴細胞相關蛋白4，其抑制T細胞對癌細胞的免疫應答
「細胞因子」	指	在細胞信號傳導中屬重要的一類廣泛活性的小分子蛋白。它們的釋放對周圍細胞的行為造成影響

## 技術詞彙

「細胞毒性」	指	對活細胞有毒性
「D842V」	指	PDGFR $\alpha$ 基因中的一種突變
「DCR」	指	疾病控制率
「DLT」	指	劑量限制性毒性，規定數量的治療劑，如藥品或藥物，規定一次服用或按規定的時間間隔服用
「DMPK」	指	藥物代謝及藥代動力學
「DNA」	指	脫氧核糖核酸
「DOR」	指	緩解持續時間
「EHS」	指	環境、健康和 safety
「ERK」	指	細胞外信號調節激酶，一種特定的MAPK亞型，與許多系統中突觸可塑性和記憶形成的調節有廣泛的聯繫
「FGFR4」	指	成纖維細胞生長因子受體4
「一線」	指	就任何疾病而言，一線治療，即醫療機構普遍接受的治療方案或方案，用於對癌症特定類型和階段的初始治療
「全人源單克隆抗體」	指	由相同免疫細胞製造的全人源抗體，這些免疫細胞是同一個獨特親本細胞的克隆
「GCP」	指	臨床試驗管理規範
「GIST」	指	胃腸道間質瘤，一種發生在胃腸道的腫瘤，最常見於胃或小腸
「胃腸道」	指	胃腸道，人類和其他動物體內的器官系統，該系統接收食物，消化食物以提取和吸收能量和營養物質，並將剩餘的廢物排出作為糞便

## 技術詞彙

「GMP」	指	藥品生產質量管理規範
「等級」	指	不良事件嚴重程度所用術語（1級、2級、3級等）
「哈奇維克斯曼修正案」	指	藥物價格競爭及專利期補償法案，俗稱哈奇維克斯曼修正案，為1984年美國聯邦法律
「HCC」	指	肝細胞癌，主要由硬變肝中的肝細胞引起的一種癌症
「HDAC6抑制劑」	指	任何抑制組蛋白去乙酰化酶6功能的化學物
「HNSCC」	指	頭頸部鱗狀細胞癌，一種發生於口腔、鼻腔及咽喉黏膜並能夠擴散至身體其他部位的癌症
「霍奇金淋巴瘤」	指	一種淋巴瘤
「人源化單克隆抗體」	指	由相同免疫細胞製成的抗體，這些免疫細胞是來自非人源物種抗體的同一個獨特親本細胞的克隆，其蛋白質序列已被改變以增加與人類所產生抗體的相似性
「IC」	指	強化療
「IC <sub>50</sub> 」	指	半最大抑制，一種物質抑制特定生物或生化功能的效力的度量
「ICH」	指	人用藥品技術要求國際協調理事會
「IDH」	指	異檸檬酸脫氫酶，包括兩種催化異檸檬酸氧化脫羧成2-氧戊二酸的異檸檬酸脫氫酶同工酶，由不同類型的異檸檬酸脫氫酶基因編碼，分別名為IDH1基因及IDH2基因
「IDH1m」	指	IDH1突變

## 技術詞彙

「IFN- $\gamma$ 」	指	II型干擾素，一種針對病毒性、部分細菌性感染及原生動物感染（由寄生蟲引起的感染）的先天性及獲得性免疫力起著至關重要的細胞因子
「IgG4」	指	免疫球蛋白G4
「IL-2」	指	白介素-2，一種白介素，免疫系統中的一種細胞信號分子，在人體及其他動物體內引起免疫應答（即誘導體液及／或細胞介導免疫應答的性能）
「免疫原性」	指	特定物質（如抗原或表位）在人體及其他動物體內引起免疫應答的性能（即誘導體液及／或細胞介導免疫應答的性能）
「免疫球蛋白」	指	一種由B細胞及漿細胞（白細胞類型）製成的蛋白質。
「腫瘤免疫治療」	指	一種專門針對抗癌的免疫治療
「免疫治療」	指	利用免疫系統治療疾病
「免疫檢查點抑制劑」	指	釋放存在的自然制動器以控制免疫反應的分子
「IND」	指	臨床研究用新藥或臨床研究用新藥上市申請，在中國亦被稱為臨床試驗申請或在澳大利亞被稱為臨床試驗通知書
「INF $\alpha$ 」	指	干擾素- $\alpha$ ，一種在感染病毒的白細胞中產生的干擾素
「IO」	指	腫瘤免疫療法
「irAE」	指	免疫相關不良事件
「IRRs」	指	輸注相關反應，一種以輸注醫藥或生物物質的不良反應為特徵的疾病

---

## 技術詞彙

---

「ISM」	指	惰性SM，SM的一種，其特徵是與肥大細胞脫顆粒／介質釋放及／或過敏／過敏反應相關的症狀
「LDT」	指	實驗室自用試驗
「LOE」	指	失去獨佔權，製藥行業的一種營銷策略
「淋巴細胞」	指	一種白細胞亞型，如T細胞、B細胞及NK細胞
「MAC」	指	膜攻擊複合體
「MAPK」	指	絲裂原活化蛋白激酶，氨基酸絲氨酸及蘇氨酸特有的一種蛋白激酶
「介入權」	指	倘美國聯邦政府資助開發相關專利，則美國聯邦政府有權向專利許可持有人以外的實體授予或自行取得許可
「MCL」	指	肥大細胞白血病，一種罕見的侵襲性肥大細胞增生症，其特徵是在出現系統性肥大細胞增多症相關器官損害跡象的患者的骨髓抽吸物中發現>20%的肥大細胞，
「MEK1」或「MEK2」	指	絲裂原活化的細胞外信號調節激酶1或2，兩種途徑通過其對細胞週期控制的影響調節細胞增殖
「黑色素瘤」	指	從稱為黑色素細胞的含色素細胞發展而來的一種癌症
「轉移性」	指	涉及到任何疾病，包括癌症，致病的生物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性細胞
「MHC」	指	主要組織相容性複合體



## 技術詞彙

「MKI」	指	多激酶抑制劑，通過抑制多種細胞內及細胞表面激酶起作用，其中一些與癌症的腫瘤生長及轉移發展有關，從而減少腫瘤的生長及複製
「MLR」	指	混合淋巴細胞反應
「MTC」	指	甲狀腺髓樣癌，甲狀腺癌的一種，源於產生激素降鈣素的濾泡旁C細胞
「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
「單克隆抗體」或「單抗」	指	由相同免疫細胞製造的抗體，這些免疫細胞是同一個親本細胞的全部克隆
「單特異性」	指	就抗體而言，針對抗原的特異性，以若干方式中任何一種方式的單一抗體：對相同抗原均具有親和力的抗體；對一種抗原或一種表位特異的抗體；或對一種細胞或組織特異的抗體
「單一療法」	指	使用單一藥物治療疾病或病症的療法
「mRECIST 1.1」	指	經改良的評估癌症治療療效的腫瘤測量(Response Evaluation Criteria In Solid Tumors)版本1.1
「MSI-H」	指	微衛星不穩定性高，乃癌症基因編碼的一個特點，在腫瘤中具有很高的不穩定性
「NCT」	指	國家臨床試驗
「新藥申請」	指	新藥上市申請
「NGS」	指	下一代測序
「NKTL」	指	自然殺傷/T細胞淋巴瘤，T細胞及NK細胞腫瘤的一部分以及攻擊性淋巴瘤
「國家醫保目錄」	指	國家醫保藥品目錄

## 技術詞彙

「非小細胞肺癌」	指	非小細胞肺癌
「ORR」	指	客觀緩解率
「OS」	指	總生存期
「PARP」	指	聚腺苷二磷酸核糖聚合酶，為涉及多種細胞過程的蛋白質家族
「PBMC」	指	外周血單個核細胞
「PD-1」	指	程序性細胞死亡蛋白1或程序性細胞死亡受體1，在T細胞、B細胞及巨噬細胞上表達的免疫檢查點受體。PD-1的正常功能是關閉T細胞介導的免疫應答，作為阻止健康免疫系統攻擊體內其他致病性細胞的程序一部分。當T細胞表面上的PD-1附著於正常細胞或癌細胞表面上的某些蛋白質時，T細胞則關閉其殺死細胞的性能
「PDGF」	指	血小板衍生長因子，一系列具有促結締組織細胞（例如成纖維細胞及平滑肌細胞）以及某些其他細胞類型有絲分裂活性的生長因子。PDGF系列包括PDGF-A、-B、-C及-D，形成同源或異二聚體（PDGF-AA、-AB、-BB、-CC、-DD）
「PDGFR $\alpha$ 」	指	PDGF受體 $\alpha$ ，PDGF系列成員的細胞表面酪氨酸激酶受體
「PD-L1」	指	PD-1配體1，一種位於正常細胞或癌細胞表面上的蛋白質，其附著於T細胞表面的PD-1上，導致T細胞關閉其殺死癌細胞的能力
「PD-L2」	指	PD-1配體2，一種位於正常細胞或癌細胞表面的蛋白質，其附著於T細胞表面的PD-1上，導致T細胞關閉其殺死癌細胞的能力
「藥效學」或「PD」	指	藥物如何影響生物體的研究，其與藥代動力學一起影響藥物的劑量、益處和副作用

## 技術詞彙

「藥代動力學」或「PK」	指	對藥物的身體吸收、分佈、代謝和排洩的研究，其與藥效學一起影響藥物的劑量、益處和副作用
「關鍵試驗」	指	為證明申報藥物上市批准之前所需臨床效果及安全性證據而進行的最終對照試驗或研究
「PMBCL」	指	原發性縱隔B細胞淋巴瘤，一種比較罕見的非霍奇金淋巴瘤
「PR」	指	部分緩解
「省醫保目錄」	指	省醫保藥品目錄
「臨床前研究」	指	在非人類受試對象上測試藥物的臨床前研究，以收集療效、毒性、藥代動力學和安全性信息，並確定藥物是否準備好用於臨床試驗
「無進展生存期」或「PFS」	指	在疾病（例如癌症）治療期間和之後，患者疾病沒有惡化的時間長度。在臨床試驗中，衡量無進展生存期是了解新治療手段效果的一種方法
「PTC」	指	乳頭狀甲狀腺癌或甲狀腺乳頭狀癌，一種甲狀腺癌
「QD」	指	每日一次
「Q3W」	指	每三週
「RA」	指	類風濕性關節炎
「RBC」	指	紅細胞

## 技術詞彙

「RECIST」	指	評估癌症治療療效的腫瘤測量(Response Evaluation Criteria In Solid Tumors)，定義癌症患者的腫瘤在治療過程中何時改善（「有起色」）、維持不變（「穩定下來」）或惡化（「轉差」）的一套公佈規則。該等標準於二零零零年二月由一個國際合作組織（包括歐洲癌症研究和治療組織(EORTC)、美國國家癌症研究所及加拿大國家癌症研究所臨床試驗組）發佈。現在，大多數評估癌症治療在實體腫瘤中客觀反應的臨床試驗使用RECIST。該等標準於二零零零年二月制訂及發佈，並隨後於二零零九年更新
「難治性」	指	當用於提及任何類型的癌症時，指對治療無反應的癌症。癌症在治療開始時可能有藥物耐受性，或者在治療過程中可能會變得耐藥
「復發」	指	當用於提及包括癌症在內的任何疾病時，疾病或疾病的體徵和症狀在一段時間改善後的復發。就癌症而言，可能的復發發生的原因是在最初的治療後存活了少數原始癌細胞。有時這是因為癌細胞擴散到身體的其他部位，並且太小而不能在緊隨治療的後續期間檢測到
「腎細胞癌」	指	腎癌，其症狀可能包括尿液中含血液（血尿）、一側下腰痛（不是由損傷引起的）、側面或腰背部腫物（腫塊）、疲勞（疲倦）、食慾不振、不是由節食引起的體重下降及／或不是由感染引起並且不會消失的發熱
「RET」	指	在轉染過程中重新排列
「RPID」	指	建議II期劑量
「R/R」	指	復發／難治
「R/R AML」	指	復發或難治性AML

## 技術詞彙

「嚴重不良事件」	指	嚴重不良事件，任何劑量的人類藥物試驗中任何不幸的醫學事件：導致死亡；威脅生命；需要住院治療或導致延長現有住院時間；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
「SCF」	指	幹細胞因子，亦稱KIT配體，是一種與c-KIT受體結合的細胞因子
「SCLC」	指	小細胞肺癌，一種在肺組織形成並能夠擴散至身體其他部位的迅速增長型癌症
「SCT」	指	幹細胞移植，患者接受健康造血細胞（幹細胞）代替其自身被疾病或輻射或高劑量抗癌藥物（作為程序的一部分而給予）殺死的細胞的一項程序。SCT可以是自體（使用患者自身的幹細胞，在治療前收集並保存）、同種異體（使用由並非同卵雙胞胎的人捐贈的幹細胞），或同源（使用由同卵雙胞胎捐贈的幹細胞）
「SD」	指	病情穩定。在腫瘤學中，此乃指腫瘤在程度或嚴重性上既未縮小亦未擴大
「SEB」	指	一種超級抗原，又稱葡萄球菌腸毒素B，與MHC II類分子及TCR特定V $\beta$ 區域相結合
「二線」	指	就任何疾病而言，當一線療法不能充分發揮作用或停止發揮作用時，嘗試使用的療法。有時一線療法在一段時間內表現出進展，隨後是癌症停滯或持續增長。通常美國FDA、中國藥監局或其他藥物監管機構會特別批准用於二線治療的新藥。對於用於已經接受過治療的癌症的新藥，這種標記是常見的

## 技術詞彙

「SM」	指	系統性肥大細胞增生症，一種肥大細胞增生症，其中肥大細胞在內部組織以及肝、脾、骨髓及小腸等器官中積聚
「SM-AHN」	指	伴有相關血液腫瘤的SM
「SM-AHNMD」	指	伴有相關血液非肥大細胞病的SM
「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（不是癌症）或惡性的（癌症）。不同類型的實體瘤以形成它們的細胞類型命名。實體瘤的例子有肉瘤、癌和淋巴瘤
「標準護理」	指	獲醫學專家接納作為治療若干類疾病並獲醫護人員廣泛使用的療法，亦被稱作最佳實踐、標準醫療護理及標準療法
「 $T_{1/2}$ 」	指	終末半衰期，濃度降至其峰值的50%所需的時間
「T細胞」或 「T淋巴細胞」	指	由胸腺產生或加工並且積極參與免疫反應的一種類型的淋巴細胞，其在細胞介導免疫中起著核心作用。T細胞可以通過細胞表面存在的T細胞受體與其他淋巴細胞（如B細胞和NK細胞）區分開來
「TCR」	指	T細胞受體
「TEAE」或 「治療後不良事件」	指	在治療之前不存在的不良事件，或者已經存在的事件於治療後在強度或頻率方面惡化
「TKIs」	指	酪氨酸激酶抑制劑，一種抑制酪氨酸激酶的藥物
「未曾接受TKI 治療的HCC患者」	指	在推薦治療開始日期之前並無TKI給藥記錄的HCC患者

---

## 技術詞彙

---

「TNBC」	指	三陰型乳腺癌，並無對雌激素受體、孕激素受體(PR)和原癌基因Her2作出基因表達的任何乳腺癌
「毒性」	指	一種物質或物質混合物可能傷害人類或動物的程度。急性毒性通過單次或短期暴露對機體產生有害影響。它通常表示為劑量反應
「Treg」	指	T調節細胞，調節免疫系統、維持對自身抗原的耐受性並預防自身免疫疾病的T細胞亞群。
「UCC」	指	膀胱上皮細胞癌，一種通常發生在泌尿系統的癌症
「URR」	指	尿素下降率，即透析導致的尿素下降
「VEGF」	指	血管內皮生長因子，一種對癌細胞生長和發育至關重要的基因。有三種主要的VEGF受體亞型，包括VEGFR-1、VEGFR-2及VEGFR-3
「VEGFR2」	指	血管內皮生長因子受體2，一種VEGF，是血管內皮生長因子信號的主要反應因子，從而調節內皮細胞遷移及增殖
「VID」	指	VEGF抑制域
「WT」	指	野生型