

## 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。

「AAALAC」	指	國際實驗動物管理評估及認證協會
「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
「ALT」	指	丙氨酸氨基轉移酶
「抗 - IgM」	指	抗免疫球蛋白M
「API」	指	活性藥物成分，一種用於藥物成品的物質，旨在對疾病的診斷、治癒、緩解、治療或預防產生藥理活性或其他直接影響，或對恢復、矯正或改變人類的生理功能產生直接影響
「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
「AST」	指	天門冬氨酸轉氨酶
「心房顫動」	指	心房肌纖維顫動
「AUC」	指	曲線下面積，全身暴露量參數
「籃子試驗」	指	一種測試新藥或其他物質在患有具有相同突變或生物標記物的不同類型癌症的患者中功效的臨床實驗
「B細胞」	指	一種因B細胞外表面存在B細胞受體而不同於T細胞等其他淋巴細胞的白細胞，亦稱B淋巴細胞

## 技術詞彙

「Bcl-2」	指	一種通過阻斷某類細胞死亡（即凋亡）協助控制細胞生存或死亡的蛋白。Bcl2基因載於18號染色體上，且多種B細胞白血病及淋巴瘤中可發現Bcl2基因轉移至不同染色體上，從而導致Bcl2蛋白大量增加，令癌細胞免於死亡
「BCR」	指	B細胞受體，一種令B細胞可與特定抗原結合的特殊受體蛋白
「生物利用度」	指	所給藥物劑量進入人體循環的藥量比例，為藥物的主要藥代動力學特性之一
「BMX」	指	胞質酪氨酸蛋白激酶BMX，人體內由BMX基因編碼的一種酶
「橋接研究」	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
「BTK」	指	布魯頓酪氨酸激酶，由BTK基因編碼的一種人類酶
「癌瘤」	指	一種在器官的表層（上皮細胞）開始的癌症
「CD20」	指	B淋巴細胞抗原CD20，一種由MS4A1基因編碼的B細胞特異性細胞表面分子
「CDE」	指	藥品審評中心，NMPA下屬機構
「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
「膽管癌」	指	膽管癌，一種在膽管中形成的癌症
「CLL」	指	慢性淋巴細胞白血病

---

## 技術詞彙

---

「C <sub>max</sub> 」	指	峰濃度，全身暴露量參數
「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
「CNSL」	指	中樞神經系統淋巴瘤
「同期群」	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特徵或經歷並且隨時間被監測
「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
「完全回應」	指	經治療後所有癌症跡象均消失
「CRO」	指	合約研究機構，一家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行業提供支援的公司
「CT」	指	計算機斷層掃描
「CTA」	指	臨床試驗申請
「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
「DLBCL」	指	瀰漫性大B細胞淋巴瘤，一種起源於淋巴細胞的常見非霍奇金淋巴瘤類型
「DLT」	指	劑量限制性毒性，藥物或其他療法的副作用嚴重，足以限制劑量增加或抑制療效提高
「DMPK」	指	藥物代謝及藥代動力學

---

## 技術詞彙

---

「DNA」	指	脫氧核糖核酸
「DOR」	指	緩解持續時間，腫瘤持續緩解治療而癌症未增長或擴散的時間長度
「EC」	指	食管癌
「eCTD」	指	電子通用技術文件
「EGFR」	指	表皮生長因子受體
「EHS」	指	環境、健康和安全
「EPO」	指	歐洲專利局(European Patent Office)
「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
「FGFR」	指	成纖維細胞生長因子受體，為酪氨酸激酶受體家族一個亞組的跨膜蛋白
「FGFR2融合」	指	一種天然基因融合體，其中兩個原先單獨的基因形成混合基因，可激活下游通路以誘導膽管癌中的腫瘤生長
「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，用於對癌症特定類型和階段的初始治療
「FL」	指	濾泡性淋巴瘤
「GC」	指	胃癌
「GCB」	指	生髮中心B細胞，彌漫性大B細胞淋巴瘤的亞型之一
「GCP」	指	臨床試驗管理規範
「GMP」	指	藥品生產質量管理規範

## 技術詞彙

「等級」	指	根據常見不良反應事件評價標準(CTCAE) 4.03版，為不良事件嚴重程度所用術語
「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，為一九八四年美國聯邦法律
「HCC」	指	肝細胞癌，主要由硬變肝中的肝細胞引起的一種癌症
「霍奇金淋巴瘤」	指	一種起源於淋巴細胞的癌症
「IC50」	指	半最大抑制濃度，一種物質抑制特定生物或生化功能的效力的度量
「干擾素 - $\alpha$ 」	指	干擾素 $\alpha$ ，一種由從仙台病毒誘導人血白細胞部分取得的天然干擾素 $\alpha$ (干擾素 - $\alpha$ ) 組成的藥物
「IgM」	指	在血液和淋巴液中發現的一種免疫球蛋白亞型，是免疫反應系統的一部分
「IBD」	指	炎性腸病
「IMCT」	指	國際多中心試驗
「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
「獨立審查委員會」	指	獨立審查委員會
「IWWM」	指	華氏巨球蛋白血症國際研討會

---

## 技術詞彙

---

「激酶」	指	一種用於催化磷酸基團從高能磷酸鹽供體分子轉移至特定底物的酶。蛋白激酶佔所有激酶的大部分。蛋白激酶作用於蛋白，使該等蛋白在絲氨酸、蘇氨酸、酪氨酸或組氨酸殘基上磷酸化。該等激酶在蛋白及酶調控以及發出細胞信號方面發揮重要作用
「淋巴細胞」	指	一種白細胞亞型，如T細胞、B細胞及NK細胞
「MAH」	指	營銷授權持有人，已被授予市場授權以銷售特定藥品的實體
「MCL」	指	肥大細胞白血病，是一種罕見的侵襲性肥大細胞增多症，其特徵是在有全身肥大細胞相關器官損傷徵象的患者的骨髓中發現肥大細胞>20%
「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
「MRD」	指	微小殘留病變，MRD可作為預後評價的敏感指標
「MRL/lpr」	指	墨菲羅斯大鼠／淋巴增殖基因鼠株
「MTD」	指	最大耐受劑量，不會引起排斥的副作用的藥物或治療的最高劑量
「單一療法」	指	使用單一藥物治療疾病或病症的療法
「MS」	指	多發性硬化
「MZL」	指	邊緣區淋巴瘤
「NCCN」	指	美國國家綜合癌症網絡
「新藥申請」	指	新藥上市申請

---

## 技術詞彙

---

「NHL」	指	非霍奇金淋巴瘤
「國家醫保目錄」	指	國家醫保藥品目錄
「OBD」	指	最佳生物劑量，對生物標記物達到預先確定的預期效果的劑量
「ORR」	指	客觀緩解率
「OS」	指	總生存期
「泛FGFR抑制劑」	指	泛成纖維細胞生長因子受體(FGFR)家族抑制劑
「泛TRK抑制劑」	指	泛原肌球蛋白相關激酶家族抑制劑
「pCNSL」	指	原發性中樞神經系統淋巴瘤
「專利合作條約」	指	專利合作條約
「PET」	指	正電子放射斷層掃描，一種採用放射性示蹤劑檢查體內代謝過程以助診斷疾病的功能性成像技術
「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
「藥代動力學」或「PK」	指	對藥物的身體吸收、分佈、代謝和排泄的研究，其與藥效學一起影響藥物的劑量、益處和副作用
「Ib/IIa期研究」	指	測試新療法的安全性、副作用及最佳劑量的Ib/IIa期研究，並以選定劑量水平對目標患者進行研究而受青睞。Ib/IIa期研究亦調查若干類疾病對某種治療方法的反應程度。於進行IIa期研究時，患者通常會接受在Ia期研究時並無產生有害副作用的治療方法的多劑量治療。研究結果是否令人滿意將於IIb或III期研究中進一步確認

## 技術詞彙

「PI3K」	指	一個或多個磷酸肌醇3-激酶，為PI3K/AKT/mTOR通路的一部分，而該通路為各種細胞功能（如生長控制、新陳代謝及翻譯起始）的重要信號通路
「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
「PLC- $\gamma$ 2」	指	磷酸肌醇 $\gamma$ 2亞型-特異性磷脂酶C
「PR」	指	部分緩解
「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）治療期間和治療後，患者疾病沒有惡化的時間長度
「銀屑病」	指	一種持續時間長的自身免疫性疾病，特徵是皮膚出現異常斑點
「QD」	指	每日一次
「RA」	指	類風濕性關節炎
「難治性」	指	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的疾病
「註冊性試驗」	指	旨在確立可接受的益處／安全特徵的大型驗證性研究，以就精確確定的適應症獲得監管部門的批准
「復發」	指	疾病或疾病的體徵和症狀在一段時間改善後的復發
「RP2D」	指	建議II期劑量
「R/R」或「r/r」	指	復發難治



---

## 技術詞彙

---

「復發難治 非GCB DLBCL (雙重突變)」	指	具有MYD88及CD79b雙重突變的復發難治非GCB DLBCL
「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
「病情穩定」	指	在程度或嚴重性上既未縮小亦未擴大的病情
「二線」	指	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
「SLE」	指	系統性紅斑狼瘡
「SLL」	指	小細胞淋巴瘤
「實體瘤」	指	組織的異常腫塊，通常不包含囊腫或液性暗區
「標準療法」	指	獲醫學專家接納作為治療某種疾病並獲醫護人員廣泛使用的療法
「 $T_{1/2}$ 」	指	終末半衰期，濃度降至其峰值的50%所需的時間
「T細胞」	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。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
「治療後不良事件」 或「TEAE」	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
「TEC」	指	在肝細胞癌中表達的酪氨酸激酶

---

## 技術詞彙

---

「初治」	指	從未因特定疾病接受過治療的患者
「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
「治療相關不良事件」	指	治療相關不良事件，在藥物治療之前不存在的不良事件或在治療後強度或頻率惡化的已經存在事件
「TRK」	指	在哺乳動物神經系統中調節突觸強度和可塑性的一類酪氨酸激酶
「UC」或「尿道 上皮癌」	指	膀胱上皮細胞癌，一種通常發生在泌尿系統及始於膀胱上皮細胞的癌症
「VGPR」	指	非常好的部分緩解
「VEGFR」	指	血管內皮生長因子受體
「WM」	指	華氏巨球蛋白血症
「3+3劑量遞增設計」	指	基於規則的劑量遞增計劃，最初將最低劑量水平分配給第一同期群，然後根據觀察到的DLT適應性遞增或遞減劑量，並重複直至獲得MTD或試驗停止
「染色體17p缺失」	指	17號染色體短臂部分缺失