

## 技術詞彙表

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詞彙的定義。其中若干詞彙未必與業內標準定義相符。

「3+3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同期群，然後根據觀察到的DLT相應遞增或遞減劑量，並重複直至取得MTD或試驗停止
「4-1BB」或「CD137」	指	一種活化誘導的共刺激分子及免疫應答的調節因子
「活性成分」	指	藥物中所含的生物活性物質
「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作用或抗體依賴性細胞毒性作用，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，而其膜表面抗原已結合特異性抗體
「不良事件」	指	不良事件，患者或臨床試驗受試者於臨床試驗期間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	丙氨酸轉氨酶，一種主要存在於肝和腎細胞中的酶
「AML」	指	急性骨髓性白血病，一種骨髓細胞系癌症，其特徵是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
「細胞凋亡」	指	程序性細胞死亡
「ARD1A」	指	一種酶亞基
「ASC」	指	抗體分泌細胞

---

## 技術詞彙表

---

「測定」	指	進行分析以確定(1)物質的存在及該物質的量以及(2)藥物的生物學或藥理學效能
「ATM」	指	毛細血管擴張性共濟失調突變，一種DNA損傷誘導蛋白激酶
「ATR」	指	毛細血管擴張性共濟失調突變及rad3相關
「籃式試驗」	指	一種測試新藥或其他物質在患有相同突變或生物標誌物的不同類型癌症的患者中功效的臨床試驗
「bb2121」	指	一種靶向B細胞成熟抗原的CAR-T療法，具有治療MM的潛力
「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
「雙特異性」	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
「BID」	指	每日兩次
「BRAF」	指	一種編碼為B-Raf蛋白質的人類基因
「BRCA」	指	一種人類基因
「橋接研究」	指	在新地區進行的補充研究，旨在提供新地區中的療效、安全性、劑量及給藥方案的藥效學或臨床數據，以得到外國臨床數據用於新地區的許可
「BTK」	指	布魯頓氏酪氨酸激酶，人體內一種由BTK基因編碼的酶
「CAEBV」	指	慢性活動性愛滋斯坦－巴爾病毒
「年複合增長率」	指	年複合增長率

---

## 技術詞彙表

---

「CAPA」	指	糾正措施和預防措施，包括對組織流程的改進，以消除出現不合規或其他不良情況的原因
「CAR-T」	指	嵌合抗原受體T細胞
「癌」	指	一種在器官表層（上皮細胞）開始的癌症
「CBR」	指	臨床受益率，獲得微小或較好緩解的患者比例
「CC-223」	指	一種mTOR抑制劑，亦稱ATG-008或onatasertib
「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
「CD38」	指	一種具有胞外酶功能的糖蛋白，可在漿細胞和其他淋巴及骨髓細胞群表達
「CDC」	指	補體依賴的細胞毒性，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	國家藥品監督管理局藥品審評中心，中國國家藥監局的一個部門
「CDMO」	指	合同開發和生產組織
「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療劑作為標準化療法一部分的癌症治療
「CHOP」	指	環磷酰胺(C)、鹽酸阿黴素(H)、長春新城(O)和潑尼松龍(P)的組合

---

## 技術詞彙表

---

「CLDN18.2」	指	密封蛋白18.2，是胃癌及食管腺癌治療中的具有吸引力的靶點
「CMC」	指	藥品開發、許可、生產及持續商業化的化學、生產和控制流程
「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
「完全緩解」	指	經治療後所有癌症症狀均消失
「CR」	指	完全緩和或完全緩解
「CRO」	指	合約研究機構，為以按合約外包研究服務的形式向製藥、生物技術和醫療器械行業提供支援的公司
「CT」	指	計算機斷層攝影術
「CTA」	指	臨床試驗協議
「CYs528」	指	XPO1的半胱氨酸528
「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。其釋放對周圍細胞的行為造成影響
「細胞毒性」	指	對活細胞有毒性
「DCR」	指	疾病控制率
「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氏淋巴瘤
「DLT」	指	劑量限制性毒性，藥物或其他療法的副作用嚴重到限制劑量增加或抑制療效提高

---

## 技術詞彙表

---

「DNA」	指	脫氧核糖核酸
「DoR」	指	緩解持續時間，腫瘤持續對治療產生緩解而癌症未增長或擴散的時間長度
「EBV」	指	愛潑斯坦－巴爾病毒
「EC」	指	食管癌
「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
「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
「ESA」	指	促紅細胞生成劑
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局
「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一種或多種治療方案，用於對癌症特定類型和階段的初始治療
「GC」	指	胃癌
「GCB」	指	生發中心B細胞，瀰漫性大B細胞淋巴瘤的亞型之一
「GCP」	指	臨床試驗質量管理規範
「GEMOX」	指	一種用於治療復發或原發難治性非霍奇金氏淋巴瘤及霍奇金氏淋巴瘤的化療方案
「GLP」	指	藥物非臨床研究質量管理規範

---

## 技術詞彙表

---

「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）
「GTPase」	指	水解酶大家族，可與核苷三磷酸鳥苷結合並將其水解為二磷酸鳥苷
「Hatch-Waxman法案」	指	《藥品價格競爭與專利期補償法案》，俗稱Hatch-Waxman法案，為1984年美國聯邦法律
「HBV陽性」	指	乙型肝炎病毒陽性
「HCC」	指	肝細胞癌，主要由硬變肝中的肝細胞引起的一種癌症
「HCV」	指	丙型肝炎病毒
「HDAC抑制劑」	指	任何抑制組蛋白去乙酰化酶功能的化學物質
「HIV」	指	人類免疫缺陷病毒
「霍奇金氏淋巴瘤」	指	一種淋巴瘤
「HPV」	指	人類乳突病毒
「HR-MDS」	指	高風險骨髓增生異常綜合征，與原始細胞增多、低危細胞遺傳學及多血球減少相關
「HR-QoL」	指	個體或群體基於生理、心理、情感及社會功能相關領域的多維度概念隨時間變化感知的身心健康狀態的健康相關生命質量
「IC」	指	強化化療
「IC <sub>50</sub> 」	指	半最大抑制濃度，一種用來測量一種物質對於特定生物或生化功能的抑制效力的量度

---

## 技術詞彙表

---

「ICE」	指	異環磷醯胺、卡鉑和依託泊苷，一種用於治療NHL的化療方案
「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，分別命名為IDH1基因及IDH2基因
「IFN- $\gamma$ 」	指	II型干擾素，一種對針對病毒性、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至關重要的細胞因子
「IgG1」	指	免疫球蛋白G1，參與半分子交換持續過程的一種動態抗體
「IMiD」	指	免疫調節酰亞胺藥物，一種用於調節免疫應答的免疫調節藥物，含有酰亞胺基團
「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
「免疫腫瘤學」	指	一種專門針對抗癌的免疫療法
「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群
「IMP」	指	輸入蛋白
「體外」	指	對整個活的生物體或細胞（通常是動物（包括人體）及植物）測試各種生物體的影響的研究條件類別，有別於對組織提取物或死去生物體進行的研究條件類別

---

## 技術詞彙表

---

「體內」	指	微生物、細胞或生物分子在其正常生物環境外進行的一類研究條件
「IND」	指	臨床研究用新藥或臨床研究用新藥申請，在中國亦被稱為臨床試驗申請
「IO」	指	免疫腫瘤學，利用人體免疫系統對抗癌症的治療方法的研究和發展
「獨立審查委員會」	指	獨立審查委員會
「淋巴細胞」	指	一種白細胞亞型，如T細胞、B細胞及NK細胞
「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細胞信號傳導方面發揮重要作用
「KOL」	指	關鍵意見領袖
「KRAS」	指	為生產構成RAS/MAPK通路一部分的K-Ras蛋白提供指令的一類基因
「KRAS G12C」	指	多種癌症類型的致癌驅動基因突變（第12位密碼子的甘氨酸替換為半胱氨酸）
「mAb」	指	單克隆抗體，由均屬唯一母細胞克隆的相同免疫細胞產生的抗體
「MAC」	指	膜攻擊複合體，通常由於宿主補體系統的激活和免疫系統的第一應答者而在病原體細胞膜表面形成的結構



---

## 技術詞彙表

---

「MAPK」	指	絲裂原活化蛋白激酶，一種專門針對氨基酸絲氨酸和蘇氨酸的蛋白激酶
「介入權」	指	(倘美國聯邦政府為專利開發提供資金) 美國聯邦政府向實體 (除專利許可持有者外) 授予或自行取得許可的權利
「mCR」	指	骨髓完全緩解
「mCRC」	指	轉移性結腸直腸癌
「mCRPC」	指	轉移性去勢抵抗性前列腺癌
「MDS」	指	骨髓增生異常綜合症，即一組由發育不良或無效造血的血細胞引起的疾病
「MEK」	指	絲裂原活化細胞外信號調節激酶，通路通過其對細胞週期控制的影響調節細胞增殖
「黑素瘤」	指	一種從被稱為黑色素細胞的含色素細胞發展而來的癌症
「轉移性」	指	任何疾病 (包括癌症、致病機體或惡性或癌性細胞) 通過血液或淋巴管或膜表面轉移到身體其他部位
「MFDS」	指	韓國食品藥品安全部
「MLR」	指	混合淋巴細胞反應
「MM」	指	多發性骨髓瘤
「MMP」	指	基質金屬蛋白酶，是屬鈣依賴性含鋅內肽酶的金屬肽酶
「作用機制」	指	作用機制，原料藥透過其產生藥理作用的特定生化相互作用

---

## 技術詞彙表

---

「MRD」	指	微小殘留病，預後指標的敏感參照標準
「mRNA」	指	一種單鏈核糖核酸(RNA)分子，與基因的一條DNA鏈互補
「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細胞(C細胞)
「MTD」	指	最大耐受劑量，不引起無法接受的副作用的藥物或治療的最大劑量
「mTOR」	指	哺乳動物雷帕黴素靶蛋白，一種調節蛋白質合成及細胞生長以應對生長因子、營養素、能級及壓力的蛋白激酶
「mTORC1」	指	哺乳動物雷帕黴素靶蛋白複合物1，為一種起營養物／能量／氧化還原傳感器的作用，並控制蛋白質合成的蛋白複合物
「mTORC2」	指	由調節細胞增殖及存活、細胞遷移及骨架重塑的絲氨酸／蘇氨酸激酶mTOR組成的對雷帕黴素不敏感的蛋白複合物
「單克隆抗體」	指	由均屬同一母細胞克隆的相同免疫細胞產生的抗體
「單一療法」	指	採用單一藥物治療疾病或病症的療法
「NAD」	指	煙醯胺腺嘌呤二核苷酸，一種參與細胞新陳代謝多個方面的高豐度輔助因子
「NAMPT」	指	一種負責維持細胞內NAD池，在調節細胞新陳代謝中起關鍵作用，且具有細胞激酶類活性的酶

---

## 技術詞彙表

---

「NCCN」	指	美國國家綜合癌症網絡，美國癌症中心聯盟，其中大多數被美國國家癌症中心（美國國立衛生研究院之一）指定為綜合癌症中心
「NDA」	指	新藥申請
「NHL」	指	非霍奇金氏淋巴瘤
「NK/T細胞淋巴瘤」	指	自然殺傷／T細胞淋巴瘤，推定的起源於自然殺傷細胞的攻擊性惡性腫瘤，少數來源於T細胞譜係
「NPC」	指	核孔複合體，連接細胞核與細胞質的通道
「國家醫保目錄」	指	國家醫保藥品目錄，中國醫療保險制度全部或部分覆蓋的藥品名稱
「NSCLC」	指	非小細胞肺癌
「NZBW/F1」	指	新西蘭黑鼠和新西蘭白鼠雜交一代的一類小鼠模型
「ORR」	指	整體緩解率
「OS」	指	總生存期
「PAK4」	指	p21激活的激酶4（PAK家族中的一員），調節多種細胞功能，包括細胞粘附、遷移、增生及存活
「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
「專利合作條約」	指	專利合作條約，1970年締結的國際專利法條約

---

## 技術詞彙表

---

「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細胞關閉其殺死細胞的性能
「PD-L1」	指	PD-1配體1，一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
「PDUFA」	指	《處方藥使用者費用法案》，該法案最初由美國國會於1992年頒佈，允許FDA向藥品製造商收取費用以為NDA程序提供資金
「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、代謝和排洩的研究，其與藥效學一起影響藥物的劑量、益處和副作用
「PI3K/AKT」	指	一個可促進代謝、增殖、細胞存活、生長及血管生成以響應細胞外信號的細胞內信號傳導通路
「概念驗證後」	指	早期藥物開發階段後的臨床研究階段，後期臨床研究的成功潛力在此階段得到證明
「PR」	指	部分緩解
「省醫保目錄」	指	省醫保藥品目錄，中國各省的省級或地方醫療保險目錄，列有醫療保險制度全部或部分覆蓋的藥品目錄

---

## 技術詞彙表

---

「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
「主要研究者」	指	負責在臨床試驗場所開展臨床研究的人士
「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
「QD」	指	每日一次
「RAS」	指	網狀激活系統
「R-CHOP」	指	NHL的一種治療方案，指利妥昔單抗(R)、環磷酰胺(C)、鹽酸阿黴素(H)、長春新城(O)及潑尼松龍(P)
「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
「註冊性研究」	指	大型驗證性研究，旨在建立可接受的益處／安全性信息，獲得有關精確界定的適應症的監管批准
「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
「R-GDP」	指	一種使用利妥昔單抗、吉西他濱、地塞米松及順鉑的化療方案

---

## 技術詞彙表

---

「 <b>RICTOR</b> 」	指	對雷帕黴素不敏感的mTOR伴侶，一個由RICTOR基因編碼的人類蛋白
「 <b>RP2D</b> 」	指	推薦II期劑量
「復發／難治性」	指	復發／難治性
「 <b>RSV</b> 」	指	呼吸道合胞病毒
「嚴重不良事件」	指	嚴重不良事件，任何劑量的人體藥物試驗中的任何不良醫療事件：導致死亡；威脅生命；需要患者住院治療或導致現有住院治療延長；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損害
「 <b>SCLC</b> 」	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
「 <b>SD</b> 」	指	疾病穩定。在腫瘤學中，其指在範圍或嚴重程度上既未縮小亦未擴大的癌症
「 <b>SEER</b> 」	指	美國國家癌症研究中心的監測、流行病學和最終結果項目，美國癌症發病情況及生存情況的資料來源
「 <b>SMO</b> 」	指	現場管理組織
「 <b>sNDA</b> 」	指	向FDA補充新藥申請
「二線」	指	就任何疾病而言，當一線治療並未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顯示出進展，隨後是癌症停滯或持續增長。通常FDA、國家藥監局或其他藥物監管機構會專門批准一種用於二線治療的新藥。這種標記對於用於已經接受治療的癌症的新藥很常見

---

## 技術詞彙表

---

「SINE」	指	選擇性核輸出抑制劑，一種特異性結合並抑制XPO1，阻斷腫瘤抑制蛋白從細胞核輸出的分子
「SLE」	指	系統性紅斑狼瘡
「實體瘤」	指	異常的組織塊，通常不包含囊腫或液體區域。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彼等的細胞類型命名。實體瘤的例子有肉瘤、癌和淋巴瘤
「疾病穩定」	指	在範圍或嚴重程度上既未縮小亦未擴大的疾病
「標準治療」	指	獲醫學專家接納作為適當治療某種疾病並獲醫療專業人員廣泛使用的治療方法。亦被稱作最佳實踐、標準醫療護理及標準療法
「SDd」	指	selinexor +達雷木單抗+地塞米松
「SKd」	指	selinexor +卡非佐米+地塞米松
「SPd」	指	selinexor +泊馬度胺+地塞米松
「SRd」	指	selinexor +來那度胺+地塞米松
「SVd」	指	selinexor +硼替佐米+地塞米松
「T細胞」	指	由胸腺產生或處理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
「TFDA」	指	台灣食品藥物管理署
「TGA」	指	澳大利亞藥品管理局

---

## 技術詞彙表

---

「TEAE」或 「治療後緊急不良事件」	指	藥物治療前未出現的不良事件，或已出現的事件於治療後在強度或頻率方面惡化
「TKI」	指	酪氨酸激酶抑制劑，一種抑制酪氨酸激酶的藥物
「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。其通常表示為劑量反應
「TRAE」	指	治療相關不良事件
「TSP」	指	腫瘤抑制蛋白
「TTP」	指	血栓性血小板減少性紫癜，一種血液疾病，指血液在全身的小血管中形成凝塊
「TTR」	指	甲狀腺素轉運蛋白，一種血清蛋白質成分，其功能尤指甲狀腺素的運輸
「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
「Vd」	指	硼替佐米+地塞米松
「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。
「VEGFR」	指	血管內皮生長因子受體，有三種主要的VEGF受體亞型，包括VEGFR1、VEGFR2及VEGFR3
「VGPR」	指	非常好的部分緩解
「XPO1」	指	核輸出蛋白1，一種介導蛋白核輸出的真核蛋白