

## 術語表

本術語表載有本文件中與我們和我們的業務相關的若干術語的定義。其中部分定義可能與標準行業定義不符。

「6MWT」	指	六分鐘步行測試(6MWT)，為一項功能測試，可測量個人在堅硬平坦的表面上總共步行六分鐘的距離。目標為讓個人在六分鐘內盡可能步行更遠
「AAV」	指	腺相關病毒，作為基因治療的吸引向量以在肌肉、眼、大腦、肝臟及肺等各種組織內促進持續基因表達
「AAV衣殼平台」	指	將特定病毒應用至調查目標療程的工具
「aHUS」	指	非典型溶血性尿毒綜合症
「ALGS」	指	阿拉吉歐綜合症，是一種罕見的遺傳性疾病，可影響身體的多個器官系統，包括肝臟、心臟、骨骼、眼睛及腎臟
「AMD」	指	酸性麥芽糖酶缺乏症，亦稱為龐貝氏病或糖原貯積病II型
「ANCOVA」	指	協方差分析
「APG101」	指	CAN008引進授權前的前稱
「ASBT」	指	頂端鈉依賴性膽汁酸轉運體
「ASGCT」	指	美國基因與細胞治療學會
「ATG-012」	指	CAN106的初始縮小批次
「BA」	指	膽道閉鎖
「生物標誌物研究」	指	旨在藉研究生物標誌物達致簡化藥物發現和開發的一項研究
「BsAb」	指	雙特異性抗體

---

## 術語表

---

「C5」	指	補體成分5，由C5基因編碼的蛋白質
「CD95」	指	FasR／細胞凋亡抗原1 (APO-1)
「CD95L」	指	CD95配體／FasL
「CDE」	指	藥品評價中心
「CDMO」	指	合同研發製造組織
「cGMP」	指	藥品生產質量管理規範
「CHARD」	指	中國罕見病聯盟，致力於中國罕見病研究的醫學研究聯盟
「CHO」	指	中國倉鼠卵巢細胞
「CMC」	指	化學、製造和控制流程
「CNS」	指	中樞神經系統
「隊列」	指	作為臨床研究一部分的一組患者，他們在界定的期間內具有共同的特徵或經歷，並且隨著時間的推移受到監測
「CRISPR」	指	常間回文重複序列叢集
「CRO」	指	合同研究組織
「DG44」	指	源自原始CHO-K1細胞系的CHO-DG44亞細胞系
「DLT」	指	劑量限制毒性
「DMD」	指	杜氏肌營養不良
「DSMB」	指	數據和安全監測委員會
「EC」	指	倫理委員會

---

## 術語表

---

「ELISA」	指	酶聯免疫吸附試驗，是一種常用的生化分析實驗
「EMA」	指	歐洲藥品管理局
「ERT」	指	酶替代療法
「EURORDIS」	指	歐洲罕見病組織
「FcRn」	指	新生兒Fc受體，作為一種循環或轉胞吞受體，負責維持循環中的IgG及白蛋白
「FD」	指	法布雷病
「FDA」或「美國藥監局」	指	美國食品藥品監督管理局，衛生和公眾服務部的聯邦機構
「FGF23」	指	成纖維細胞生長因子23
「GAA」	指	酸性 $\alpha$ 葡萄糖苷酶
「GAG」	指	糖胺聚糖
「GBA」	指	$\beta$ -葡萄糖神經醯胺酶／ $\beta$ -葡萄糖腦苷脂酶的編碼基因
「GBM」	指	膠質母細胞瘤
「GC」	指	綠十字公司
「GCase」	指	葡萄糖腦苷脂酶
「GD」	指	戈謝病
「GLA」	指	$\alpha$ -半乳糖苷酶
「糖基化」	指	一種碳水化合物附上羥基或另一分子的其他官能基從而形成糖綴合物的反應。它通常指一種酶催化反應，糖化則可能指生物學中的非酶促反應

---

## 術語表

---

「gMG」	指	全身性重症肌無力
「GOI」	指	目的基因
「HER2」	指	人表皮生長因數受體2
「HSA」	指	健康科學管理局，新加坡國家保健品管理局
「HSCT」	指	造血幹細胞移植
「人源化」	指	人源化單克隆抗體是指抗體通過結合互補決定構造單克隆抗體的區域 (CDR)與人類框架和恆定區域，其中選擇人類框架區域以最大化與單克隆抗體序列的同源性
「ICONIC」	指	Mirum進行的maralixibat治療ALGS的2b期安慰劑對照隨機停藥臨床試驗
「IDS」或「rhIDS」	指	艾杜糖醛酸-2-硫酸酯酶
「INDIGO」	指	Mirum針對PFIC進行的maralixibat 2期研究
「IND」	指	研究性新藥或研究性新藥申請，在中國又稱臨床試驗申請
「LSD」	指	溶酶體貯積病
「Lyso-GL-1」	指	葡萄糖基鞘氨醇，葡萄糖神經醯胺(GL1)的脫醯形式
「M6P」	指	甘露糖-6-磷酸
「mAb」	指	單克隆抗體
「MAC」	指	膜攻擊複合物
「MAD」	指	多次上升劑量

---

## 術語表

---

「MG」	指	重症肌無力
「MGMT」	指	O-6-甲基鳥嘌呤DNA甲基轉移酶
「mITT」	指	改良意向治療
「MMA」	指	甲基丙二酸血症
「MPS失調症」	指	粘多醣貯積症，一組遺傳性代謝紊亂，其中身體無法正確分解粘多醣（由重複二糖單元組成的長線性多醣）
「MPS II」或 「亨特氏綜合症」	指	黏多糖貯積症II型，最常見的MPS疾病，估計新生兒發病率為1.07/100,000
「國家衛計委」	指	國家衛生和計劃生育委員會，國務院內閣級行政部門，負責提供資訊、提高衛生意識和教育、計劃生育、確保醫療服務的可及性、監督向中國公民和來訪者提供的醫療服務的質量，已併入國家衛生健康委員會
「NIFDC」	指	中國食品藥品檢定研究院
「NMO」	指	視神經脊髓炎
「NMOSD」	指	視神經脊髓炎譜系障礙
「國家藥監局」	指	國家藥品監督管理局，負責食品、衛生、化妝品安全管理的綜合監管，是中國藥品監管的主管部門
「NOD」	指	非肥胖糖尿病
「NRDL」	指	國家醫保藥品目錄

---

## 術語表

---

「ODD」	指	孤兒藥資格認定
「PCT」	指	專利合作條約
「PFIC」	指	進行性家族性肝內膽汁淤積症
「PFS」	指	無進展生存期
「PHEX」	指	磷酸調節內肽酶同源物，X連鎖
「PhIRDA」	指	中國醫藥創新促進會
「PNH」	指	陣發性睡眠性血紅蛋白尿症
「PD」	指	藥效學
「PK」	指	藥代動力學
「PRDL」	指	省級醫保藥品目錄
「PTRS」	指	技術和監管成功的概率
「RBC」	指	紅細胞
「rhGAA」	指	重組人源酸性 $\alpha$ 葡萄糖苷酶
「RP2D」	指	推薦第2階段劑量
「rRt」	指	再放射
「RT」	指	放射治療
「SAE」	指	嚴重不良事件
「SCID」	指	嚴重聯合免疫缺陷
「sL65」	指	一種用於基因編輯和基因療法的新型嗜肝AAV衣殼，其可能是嚴重肝臟疾病的潛在治療
「SMA」	指	脊髓性肌萎縮症

---

## 術語表

---

「SMC」	指	安全監察委員會
「SRC」	指	科學審查委員會
「SRT」	指	減少底物治療
「TEAE」	指	治療期出現的不良事件
「TALEN」	指	轉錄啟動物樣效應核酸酶
「TFDA」	指	台灣食品藥物管理署，負責監督食品、藥品和醫療器械安全和質量的機構
「TMDD」	指	靶向藥物處置
「TMZ」	指	替莫唑胺
「TNF」	指	腫瘤壞死因子
「t-test」	指	學生的t檢驗，t檢驗為任何統計假設檢驗，其中檢驗統計量在零假設下遵循學生的t分佈
「TTF」	指	腫瘤治療領域
「uGAG」	指	尿糖胺聚糖水平
「UGIB」	指	上消化道出血
「XLH」	指	X連鎖低磷血症
「ZFN」	指	鋅指核酸酶