

技術詞匯

本技術詞匯載有本文件所用有關我們及我們業務的若干術語的定義。部分術語未必與行業標準定義一致。

「AAALAC」	指	國際實驗動物評估和認可委員會
「ADA」	指	抗藥抗體，使用生物抗癌藥物產生的抗體。ADA可能影響藥物的療效和安全性
「ADC」	指	抗體藥物偶聯物，通過將小分子抗癌藥或另一種治療劑與抗體連接產生的新型高效生物藥，具有永久或不穩定的連接分子
「ADCC」	指	抗體依賴性細胞介導的細胞毒性，一種細胞介導的免疫防禦機制，免疫系統的效用細胞主動溶解靶細胞，而靶細胞的細胞膜表面抗原已被特異性抗體結合
「不良事件」	指	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藥品後出現的任何不良醫療事件，但不一定與治療有因果關係
「模式動物」	指	醫學研究所用非人類物種，模仿人類疾病的各個方面以獲得有關疾病及其預防、診斷和治療的資料
「APC」	指	抗原遞呈細胞
「B細胞」	指	通過在其表面表達B細胞受體而與其他類型的淋巴細胞不同的白細胞，負責產生抗體
「BLA」	指	生物製品許可申請
「B-NDG」	指	百奧賽圖通過刪除NOD-scid小鼠的IL2rg基因生成的具有超免疫缺陷表型的單基因敲除小鼠

技術詞匯

「CAR」	指	嵌合抗原受體，設計為賦予T細胞靶向特定蛋白質新能力的受體蛋白
「CAR-T」或「CAR T」	指	嵌合抗原受體T細胞，經基因工程改造以生成用於免疫療法的人工T細胞受體的T細胞
「CD40」	指	細胞分化簇40，在抗原遞呈細胞上發現的共刺激蛋白，在介導免疫及炎症反應中必不可少
「CD47」	指	細胞分化簇47，參與細胞凋亡、增殖、黏附和遷移的跨膜蛋白
「CDC」	指	補體依賴的細胞毒性，一種IgG與IgM抗體的效應器功能
「CDE」	指	國家藥監局藥品審評中心
「CDMO」	指	合同研發生產企業，按合約基準為醫藥行業其他公司提供藥物開發至藥物生產等綜合服務的公司
「CDX」	指	細胞系異種移植
「CMC」	指	有關藥品開發、許可、生產及持續營銷的化學、生產及控制流程
「隊列」	指	於指定時間內具有共同特徵或經歷並受到隨訪觀察的一組參與臨床研究的患者
「聯合療法」	指	給予患者兩種或多種治療劑以治療單一疾病的療法
「CR」	指	完全反應
「CRISPR/Cas9」	指	基因編輯技術，通過精確切割DNA並讓DNA自然修復過程佔主導地位以編輯基因

技術詞匯

「CRISPR/EGE」	指	Extreme Genome Editing，百奧賽圖基於CRISPR/Cas9基因靶向平台開發的位點特異性基因編輯系統
「CRO」	指	合約研究機構，以按合約基準外包研發服務的形式向製藥、生物技術和醫療器械行業提供支持的公司
「CTLA-4」	指	在T細胞上組成型表達的蛋白質受體，作用機制為作為免疫檢查點起作用，並下調免疫應答
「CTN」	指	臨床試驗通知
「C57BL/6」	指	一種常見的近交品系實驗鼠
「DLT」	指	劑量限制性毒性，阻止進一步以該劑量水平給藥的毒性
「DNA」	指	脫氧核糖核酸，一種編碼遺傳信息以傳遞遺傳特徵的分子
「DOR」	指	緩解持續時間，治療持續緩解腫瘤而癌症未增長或擴散的時間長度
「ELISA」	指	酶聯免疫吸附測定，基於微板的測定技術，用於檢測及定量肽、蛋白質、抗體和激素等可溶性物質
「EMA」	指	歐洲藥品管理局
「ES」	指	胚胎幹細胞，源自胚胎未分化內細胞群的幹細胞
「ESC/HR」	指	胚胎幹細胞／同源重組，利用同源重組原理獲得經過靶向基因編輯的胚胎幹細胞的過程。HR是一種代謝途徑，其中遺傳信息在雙鏈或單鏈核酸的兩個相似或相同的分子之間交換
「FDA」	指	美國食品藥品監督管理局

技術詞匯

「一線」	指	就任何疾病而言，醫療機構普遍接受的用於初始治療特定類型及階段癌症的一線治療方案
「GCP」	指	藥物臨床試驗質量管理規範
「基因編輯」	指	一種在生物體的基因組中插入、刪除、修改或替換DNA的基因工程
「GLP」	指	藥物非臨床研究質量管理規範
「gRNA」	指	嚮導RNA，通過與RNA或DNA靶向酶形成複合物作為其嚮導的一段RNA
「GVHD」	指	移植物抗宿主病，異基因移植後可能發生的疾病
「頭對頭」	指	頭對頭，對照其他已上市藥物測試候選藥物的方法
「HAMA」	指	人抗鼠抗體，人體與鼠源免疫球蛋白反應產生的抗體
「IgG」	指	免疫球蛋白G，血液循環中最常見的抗體類型，由血漿B細胞產生和釋放
「IgG1」	指	免疫球蛋白G1，人血清中最豐富的IgG亞類，對於介導針對病毒病原體的抗體反應至關重要
「IgG2」	指	免疫球蛋白G2，主要負責針對細菌莢膜多糖的抗碳水化合物IgG反應
「IIT」	指	研究者發起的試驗，即由獨立研究者發起及開展的臨床研究
「免疫療法」	指	一種使用物質刺激或抑制免疫系統來治療疾病的療法
「免疫檢查點」	指	存在於T細胞、抗原遞呈細胞和腫瘤細胞上的抗腫瘤T細胞免疫反應的調節劑；其相互作用可激活抑制性或激活性免疫信號通路

技術詞匯

「免疫檢查點靶點」	指	免疫檢查點抑制劑的攻擊部位
「原位」	指	處於正常位置(原位)且沒有侵入鄰近組織或進入身體其他部位
「體外」	指	利用微生物、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
「體內」	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一類研究條件，有別於對組織提取物或死去生物體進行的研究條件類別
「IND」	指	臨床研究用新藥或臨床研究用新藥申請，在中國亦稱為臨床試驗申請
「敲入」	指	在基因組的特定基因座靶向插入外源基因的過程
「敲除」	指	通過基因操作滅活或去除特定單個基因的過程
「淋巴細胞」	指	一種白細胞亞型，例如T細胞、B細胞及NK細胞，它們決定了對傳染性微生物和其他外來物質的免疫反應的特異性
「單抗」或「單克隆抗體」	指	由均屬唯一母細胞克隆的相同免疫細胞產生的抗體
「作用機制」	指	作用機制，原料藥產生藥理作用的特異性生化相互作用
「單藥療法」	指	採用單一藥物治療疾病或病症的療法
「MRCT」	指	多區域臨床試驗
「mRNA」	指	信使RNA，在合成蛋白質的過程中被核糖體轉譯

技術詞匯

「最大耐受劑量」	指	最大耐受劑量，藥物或治療中不會引起不可接受的副作用的最高劑量
「NDA」	指	新藥申請
「NK」	指	自然殺傷細胞，因具有迅速尋找及破壞異常細胞的天賦能力而成為人體第一道防線
「NKC」	指	自然殺傷細胞
「國家藥監局」	指	國家藥品監督管理局
「國家醫保藥品目錄」	指	國家醫保藥品目錄
「NSCLC」	指	非小細胞肺癌
「腫瘤學」	指	處理腫瘤(包括研究腫瘤的形成、診斷、治療和預防)的醫學分支
「開放標籤」	指	臨床試驗中研究人員及受試者都知悉受試者正在接受的治療的情況
「ORR」	指	整體反應率，對治療有部分或完全反應的患者比例
「OX40」	指	在活化的T細胞上表達的受體，可提供共刺激信號促進T細胞分裂及存活
「PBMC」	指	外周血單個核細胞，任何具有圓形細胞核的外周血細胞
「PCC」	指	臨床前候選化合物
「PCT」	指	專利合作協定

技術詞匯

「PD」或「藥效學」	指	研究藥物效果及其作用機制的藥理學分支
「PD-1」	指	程序性細胞死亡蛋白1或程序性死亡受體1，一種在T細胞、B細胞和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，阻止健康免疫系統攻擊體內其他病原細胞。當T細胞表面的PD-1與正常細胞或癌細胞表面的某些蛋白質結合時，T細胞就會關閉其殺死細胞的能力
「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，與T細胞表面的PD-1結合會致使T細胞關閉其殺死癌細胞的能力
「PFS」	指	無進展生存期，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
「I期臨床試驗」	指	研究人員首次在一小群人中測試一種實驗性藥物或療法的研究。研究人員評估治療的安全性，確定安全劑量範圍，並確定副作用
「II期臨床試驗」	指	針對更多人測試實驗性藥物或療法以了解其是否有效並進一步評估其安全性的研究
「主要研究者」	指	主要研究者
「PK」或「藥代動力學」	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
「PR」	指	局部緩解
「臨床前研究」	指	在非人類受試對象上測試藥物，以收集療效、毒性、藥代動力學和安全性信息，並確定藥物是否可以用於臨床試驗的臨床前研究

技術詞匯

「RNA」	指	核糖核酸，一種對基因編碼、解碼、調控及表達必不可少的聚合分子
「RP2D」	指	II期推薦劑量
「SD」	指	病情穩定
「二線」或「2L」	指	當任何疾病的一線(首次)治療無法發揮充分療效時嘗試的一種或多種療法
「sgRNA」	指	單嚮導RNA，兩個RNA分子的人工編程組合
「單臂」	指	對患有目標疾病的個體樣本進行實驗性治療，其後長期跟蹤觀察其反應的臨床試驗設計
「SIRPa」	指	信號調節蛋白 α ，SIRP家族的調節膜糖蛋白，主要由骨髓細胞表達，亦由幹細胞或神經元表達
「實體瘤」	指	組織的異常腫塊，通常不包含囊腫或液性暗區
「SPF」	指	無特定病原體，適用於保證無特定病原體的實驗動物
「標準治療」	指	獲醫學專家接納為適當治療某種疾病並獲醫護專業人員廣泛使用的療法
「TAA靶點」	指	腫瘤相關抗原靶點，腫瘤細胞中產生的抗原物質的靶點
「靶點」	指	受特定因素(如激素或藥物)影響的細胞或器官
「靶點敲除」	指	靶點敲除
「T細胞」	指	一種淋巴細胞，由胸腺產生或加工並且積極參與免疫反應，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

技術詞匯

「TCR」	指	T細胞受體，位於T細胞表面的一種蛋白質複合物，負責識別與主要組織相容性複合體分子結合的抗原肽片段
「TEAE」	指	治療中出現的不良事件
「TGA」	指	澳大利亞藥物管理局，澳大利亞政府的藥物及治療管理機構
「TNFR」	指	腫瘤壞死因子受體，充當激活細胞死亡路徑的通路或誘導參與細胞分化及存活的基因表達的膜蛋白
「TNF α 」	指	α 腫瘤壞死因子，急性炎症狀態下巨噬細胞產生的炎性細胞因子，可導致細胞壞死或細胞凋亡
「Tol2」	指	自主型轉座子，包含編碼可識別、切除並重新插入按反向末端重複序列(ITR)定義的DNA元件或具有相同ITR的其他元件的完整及功能性轉座酶的基因
「毒性」	指	一種物質或混合物可能傷害人類或動物的程度
「治療相關不良事件」或「TRAE」	指	治療前不曾出現的不良事件，或治療後嚴重程度或頻率上有所惡化的已存在事件
「UCA」	指	根據百奧賽圖開發的單鏈退火機制確定sgRNA活性的離體法
「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

技術詞匯

隊列，然後根據所觀察的DLT相應遞增或遞減，並加以反覆，直至確定最大耐受劑量或試驗停止

「4-1BB」

指 在活化T細胞及NK細胞表達的受體，可發出共刺激信號促進T細胞分裂及存活、激活細胞毒性效應並幫助形成記憶T細胞