



NEW HOPE

顧みられない患者の
新たな希望

DNDi

Drugs for Neglected Diseases *initiative*

内臓リーシュマニア症 (カラアザール) の治療薬である
ミルテホシン50mg (1日量) (Photo: Anita Khemka)



Drugs for Neglected Diseases *initiative* (DNDi) は、公益のため、国際的な研究者、公的機関、製薬企業、その他関連する協力機関と連携しながら、顧みられない病気のための新たな治療薬・治療法を開発し、患者が治療を受けられるよう取り組んでいます。

インドのムザファプールにある内臓リーシュマニア症 (カラアザール) 専門病院で治療薬を受け取る僻地から訪れた患者 (Photo: Anita Khemka)

顧みられない病気は、患者に障害を残し、失明させ、死に至らしめることもあります。

世界中で何百万もの人々が、この顧みられない病気で苦しみ、治療を必要としています。

過去50年にわたり、医学は大きな進歩を遂げてきました。それにもかかわらず、今でも、顧みられない病気で10億人以上の患者（そのうち約半数は子供たち）が、十分な治療を受けられず苦しんでいます。これらの病気は、患者を長期間寝たきりにして仕事を奪うだけでなく、あらゆる社会的活動の妨げにもなるため、継続的な貧困の原因となっています。特に、1日を1〜2ドルで生活する最貧困層の患者の苦しみは深刻です。

顧みられない病気のための既存の治療薬は患者にとって高価過ぎたり、医療ニーズに合わないか、病気によっては患者のニーズに合った、安全かつ有効な治療薬・治療法がそもそも存在しません。しかしながらこれらの病気のための治療薬・治療法の改良または新たな治療薬の研究開発（R&D）はこれまであまり取り組まれてきませんでした。

アンジェール

「6カ月間毎晩、ひどい頭痛と寒気に苦しみ、村に医療チームが来て、アフリカ睡眠病にかかっていると診断されました。私は妊娠4カ月でしたが、2日間歩いて病院へ行き、NECTによる治療を受けることができました。」

3人の子供の母親で自営農家を営む24歳のアンジェールは、コンゴ民主共和国のマジ=マナンバ病院で治療を受けています。

DNDiと国境なき医師団（MSF）、政府機関、製薬企業およびWHOのパートナーシップによって開発されたNECT（ニフルチモックス－エフロルニチン併用療法）は、アフリカ睡眠病の患者の命を救う安全かつ有効な治療法です。

アンジェールは助かりましたが、すべての患者が彼女と同じように治療の機会に恵まれているわけではありません。



顧みられない病気との闘い

治療薬を分子レベルから開発し、患者の手に届けるまで

DNDiの治療薬開発戦略の中核にあるのは、金銭的な利益ではなく、患者のニーズです。DNDiは、「バーチャルな研究開発の責任者」として、世界中の様々な研究機関や専門家の意見を集約し、2018年までに11~13種類の新しい治療薬・治療法を開発することを目指しています。

最終的な目標は、保健医療システムが整っていない地域でも使い易く、簡便で安全かつ効果の高い経口剤を開発することです。

研究開発のプロセスとして、まず製薬会社から提供される数十万種類もの化合物の活性を実験室で評価し、どの化合物がどの疾患に対して有効であるかを確認し、さらに薬の作用や、動物などを用いた有効性や安全性の試験を行います。次に、前臨床試験を終えた有望な候補薬の安全性を、健康なボランティアを通じて評価し、最終的に、顧みられない病気が流行している国や地域の患者に投与し、その効果を評価します。薬の安全性と疾患に対する有効性が認められれば、製造段階に入り、世界保健機関（WHO）および各国の保健当局から承認を得て、患者に提供されます。



DNDiのミッションを支えるグローバルな協力機関とのネットワーク

DNDiは、40カ国以上で、50の公的研究機関や大学、20の製薬企業やバイオテクノロジー企業、各国政府、NGO、その他の市民団体を含む幅広い公的および民間の協力機関とともに、公共財としての低価格な治療薬の開発に取り組み、それらが確実に患者に届くことを目指しています。



インドの僻地にあるスティハール村で住民に内臓リーシュマニア症（カラアザール）の予防や治療に関する啓発を行うチャブラ病院のスタッフ
(Photo: Graham Crouch)



顧みられない病気が流行している国や地域における 研究開発能力の構築

DNDiは、顧みられない病気が流行している国や地域において研究プラットフォームやネットワークを形成することで、現地の能力開発に取り組み、その地域の施設を活用して臨床試験を実施しています。また医薬品開発の国際的な基準を満たせるよう、それらの国や地域でインフラ設備やトレーニングも提供しています。

DNDiの短期的な開発目標は既存の治療薬・治療法の改良ですが、長期的な開発戦略では画期的な新しい治療薬を開発することを目指しています。

顧みられない病気はトップニュースになることは稀ですが、重点的な研究により、具体的な成果も出始めていますが、ますます治療は必要とされて



コロンビア共和国のクリニックで検査を受ける皮膚リーシュマニア症の少女
(Photo: Fabio Nascimento)



アフリカ睡眠病

アフリカ睡眠病、別名ヒトアフリカトリパノソーマ症（HAT）は、ツェツェバエが媒介する原虫に感染することで引き起こされる寄生虫病です。患者は精神的に衰弱し、昏睡状態に陥るだけでなく、治療しないと死に至る可能性の高い病気です。

- 6,000万人が感染のリスクにさらされている
- サハラ以南アフリカの36カ国で感染が報告されており、そのうち8カ国で全症例の97%、特にコンゴ民主共和国だけで全症例の3分の2以上を占めている

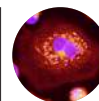
「ごく最近まで、アフリカ睡眠病の治療にはヒ素系の医薬品を使用する以外なく、病院スタッフも大きなストレスを抱えていました。治療によって患者が亡くなった際、我々は医師として、そのことを家族に説明しなければならず、耐えがたい思いでした。DNDiと協力機関が開発したNECT（ニフルチモックス－エフロルニチン併用療法）は、アフリカ睡眠病にとって初めての画期的な治療だと感じています。更に経口剤のみでの治療が可能になれば、まさに革新的なことと言えるでしょう。」

コンゴ民主共和国 バンドウンドウ総合病院
医局長 ンガンゾボ・パソー医師



DNDiの現在の取り組み

- 2009年にDNDiと国境なき医師団（MSF）、政府機関、製薬企業およびWHOのパートナーシップによって開発された治療法であるNECT（ニフルチモックス－エフロルニチン併用療法）への患者のアクセスを向上させる
- 2種の新たな経口投与による治療薬候補（フェキシニダゾールとオキサボロールSCYX-7158）の臨床試験を完結する



リーシュマニア症

リーシュマニア症は、雌のサシチョウバエが媒介する原虫に感染することで引き起こされる寄生虫病です。内臓リーシュマニア症（VL、またはカラアザール）は、発熱、体重減少、脾臓や肝臓の肥大、貧血を引き起こし、治療しないと死に至る可能性の高い病気です。皮膚リーシュマニア症（CL）は、皮膚が病変し、生涯にわたり醜い瘢痕が残るため社会的偏見につながります。

- 98カ国の3億5,000万人が感染のリスクにさらされている
- カラアザールは、主にインド亜大陸や東アフリカで感染者が見られ、その多くが5歳以下の小児である
- 症例の70%を12歳以下の子供が占め、毎年その中の約1万5,000人が死亡している

「当初、伝統薬を服用していましたが、症状は悪くなりました。そこで、近所の人が、カラアザールの治療を受けられる保健センターのことを教えてくれました。注射を初めて受けた朝から、発熱、頭痛、倦怠感が和らいでいくのを感じました。これは、わずか17日間で済む新しい治療法だそうで、嬉しいニュースでした。今では、元の生活に戻りつつあります。」

ケニアの東ボコット県で牧畜業と農業を営むレマルス（23歳）



DNDiの現在の取り組み

- 2010年にDNDiとリーシュマニア症東アフリカプラットフォーム（LEAP）、ケニア・スーダン・エチオピア・ウガンダの国家対策プログラム、国境なき医師団（MSF）、およびWHOのパートナーシップによって開発された東アフリカにおけるSSG&PM（スチボグルコン酸ナトリウム－パロモマイシン併用療法）の17日間治療と、アジアにおける併用療法への患者のアクセスを向上させる
- 現行の薬を使った、より短期間で、安価かつ安全な治療法を評価する
- 有望な新しい経口薬の候補を見つける

世界中の10億人以上が感染しています



シャーガス病

シャーガス病（アメリカトリパノソーマ症）は、サシガメが媒介する原虫に感染することで引き起こされるほか、母子感染によっても引き起こされる寄生虫病です。ラテンアメリカでは、感染性の心疾患の主な原因となっています。

- 主にアメリカ大陸で1億人が感染のリスクにさらされている
- 800万人が感染しており、毎年約1万2,000人が死亡している
- 例えばアルゼンチンやボリビアなどの流行地域では、2～10%の確率でシャーガス病の母子感染が起きている

「父がシャーガス病により心不全で亡くなったことから、家族全員もこの病気に感染していることが分かりました。みんな直ちに治療を受けましたが、25歳の弟は薬の副作用に苦しんでおり、既に心疾患の症状が出ています。」

ボリビア、コチャバンパのダニエル（27歳）



DNDiの現在の取り組み

- 小児用ベンズニダゾールの使用を奨励する
- 現行の薬を使って、より短期間で、安価かつ安全に治療できる選択肢を見つける
- 有望な新しい経口薬の候補を見つける
- より多くの患者が治療を受けられるよう提唱する（現在ではわずか1%）



フィラリア症

フィラリア症は寄生虫病であり、オンコセルカ症（河川盲目症）、リンパ系フィラリア症（象皮症）、およびロア糸状虫症などがあります。オンコセルカ症（河川盲目症）はブユが、リンパ系フィラリア症（象皮症）は蚊が、ロア糸状虫症はアブが、それぞれ原因となる蠕虫を媒介します。オンコセルカ症の主な症状は失明、激しいかゆみや皮膚の変形、リンパ系フィラリア症の主な症状は四肢・生殖器の腫脹や激しい痛み、熱などです。

- 15億人がオンコセルカ症、リンパ系フィラリア症、およびロア糸状虫症の感染のリスクにさらされている
- 世界中で2,500万人がオンコセルカ症に感染し、世界で2番目に多い感染性の失明原因となっている
- 1億2,000万人以上がリンパ系フィラリア症に感染し、そのうち約4,000万人が外観の変形や何らかの障害を発症している

「リンパ系フィラリア症による症状のせいで、私に近づいたり、触れたりするのを嫌がる人もいます。働けないので、子供を世話し、学校に通わせることもできません。」

ガーナのアクア・ニャルク（52歳）



DNDiの現在の取り組み

- 成虫（マクロフィラリア）を駆除できる薬を開発し、現在の集団投与（MDA）に要する期間を短縮するほか、個別の患者の治療にも使用する



小児HIV/AIDS

治療を行わないとHIVに感染している子供の半数は2歳までに、80%は5歳までに死亡します。

- 330万人の子供がHIV/AIDSに感染している
- 毎日700人の乳幼児が新たに感染し、約600人が死亡している（ほとんどはサハラ以南アフリカ）

「現行の薬は子供たちが吐きだしたくなるほど味が悪いので、お母さんたちも悩んでいます。本当に必要としているのは、子供たちでも服用できる味で、親にとって扱いやすく、室温で保存できる薬です。4種類の薬を1つの製剤にまとめられれば、さらに理想的です。」



南アフリカのタイガーバーグ病院で小児HIVを専門に治療するエルス・ドッペルス医師

DNDiの現在の取り組み

- 乳幼児や小児向けに、苦みがなく、すべての薬が1剤となった、簡便で、冷蔵保存を必要としない2種類の抗レトロウイルス（ARV）薬の製剤を開発する
- HIVと結核に重複感染している小児向けの「ブースター」製剤を開発する

6種類の新たな治療法を開発したほか、有望な新薬も 使い易く安価で、途上国の医療現場に適応した治療薬。公共財としての医薬品。

マラリア

ASAQ

2007



アーテスネート+アモジアキンの用量固定合剤

- サノフィとの革新的なパートナーシップによって開発
- 簡単な服用方法：1日1錠または2錠を3日間
- 35カ国で登録され、そのうち31カ国がアフリカ諸国
- WHO（世界保健機関）事前承認済み
- WHO必須医薬品リスト（成人および小児）に収載

アフリカの31カ国で

3億2,000万人を治療

マラリア

ASMQ

2008



アーテスネート+メフロキンの用量固定合剤

- DNDiとブラジルのFarmanguinhos/Fiocruz（オズワルド・クルス財団が管轄する医薬品技術研究所）が開発
- 小児および成人に適応した簡単な服用方法
- ブラジル（2008年）、インド（2011年）、マレーシアおよびミャンマー（2012年）、タンザニア（2013年）、ベトナムおよびニュージーランド（2014年）にて承認済み
- FarmanguinhosからインドのCipla社への南南技術移転
- WHO事前承認済み（Cipla社）
- WHO必須医薬品リスト（成人および小児）に収載

ラテンアメリカとアジアで

120万人を治療

アフリカ睡眠病

NECT

2009



ニフルチモックス-エフロルニチン併用療法

- DNDi、国境なき医師団（MSF）、政府機関、製薬企業およびWHOのパートナーシップによって開発
- アフリカ睡眠病の流行国で、後期患者全体の約96%がNECTで治療を受ける（2013年）
- アフリカ12カ国で必須医薬品リストに収載（報告された症例のうち98%を網羅）

アフリカで

1万3,000人を治療

内臓リーシュマニア症

SSG&PM

2010



スチボグルコン酸ナトリウム・パロモマイシン併用療法

- DNDi、リーシュマニア症東アフリカプラットフォーム（LEAP）、ケニア・スーダン・エチオピア・ウガンダの国家対策プログラム、国境なき医師団（MSF）、およびWHOのパートナーシップによって開発
- WHOリーシュマニア症東アフリカ対策専門委員会で推薦（2010年）
- スーダン、南スーダン、ケニア、エチオピアで内臓リーシュマニア症対策のナショナルガイドラインに収載
- ウガンダ（2011年）、ケニア（2013年）でパロモマイシン登録済み。その他、東アフリカ各国にて申請中

東アフリカで

2万5,000人を治療

内臓リーシュマニア症

インドにおける 新規治療法

2011



アムビゾーム®単回投与/パロモマイシン-ミルテホシン併用療法/パロモマイシン-アムビゾーム®併用療法

- 州・国家・地域レベルの保健当局とともに大規模な導入プログラムを実施
- 高い効果と安全性に優れたプロファイル
- 現地に適応した治療法
- WHOリーシュマニア症対策専門委員会で推薦（2010年）

インドの内臓リーシュマニア症制圧ロードマップの改訂版ではアムビゾーム®単回投与およびパロモマイシン-ミルテホシン併用療法を**推奨**

シャーガス病

ベンズニダゾール 12.5mg錠

2011



ベンズニダゾールの小児用製剤

- ブラジルのペルナンブコ州薬学研究所（LAFEPE）とのパートナーシップによって開発
- 年齢に応じた投与が可能、簡便で安価な治療
- 2歳未満の小児に対応した、水に溶けやすい錠剤
- 2011年ブラジルで承認済み
- WHO必須医薬品リストに収載
- ムンド・サノ財団とセカンドソース製造契約を締結（2013年）

小児用の治療製剤

開発段階にあります



13の新薬候補（新規化合物）を
創薬パイプラインに追加



遠隔地や農村地域、物資や設備、
人材などが限られている地域、
紛争の影響下にある地域などにおいて、
10年間で25の臨床研究を実施
（3万3,000人の患者が参加）

13の臨床開発プロジェクトのために、
世界中に57の臨床試験拠点を設置



すべての研究は、国際的な倫理・
品質基準に従って実施

エヴァリン

「どんな病気にかかった
のかわからなかったので、
キマレルまで来ました。
マラリアでもカラアザールでも、
キマレルなら治療を受けられることがわ
かっていましたから。」

命を救うための治療にアクセ
スできること、それは誰もが
有する基本的な権利です

エヴァリンは、幼い息子を持つ20歳の
母親です。ケニアのリフトバレー州に
ある小さな町、マリガットに住んでい
ます。ある日、彼女は倦怠感や吐き気
に襲われるようになり、発熱が始まった
ところで治療を受けようと思いました。

彼女は息子と一緒に、15kmの道のり
を経て、DNDiが支援するキマレル保健
センターにやって来ました。そしてカラ
アザールと診断され、DNDiと協力機
関のパートナーシップによって開発さ
れたSSG&PMIによる治療を受けました。
エヴァリンは、保健センターに滞在中、
スタッフの世話を受けながら、息子へ
の授乳を続けることができました。





どなたでも貢献できます — 個人、公的機関、企業、または財団など、どなたでも寄付できます。活動全般に対する資金援助、または現場の人材育成やクリニックの改修および臨床試験用機器の購入といった特定の疾患を対象とするプロジェクトへの寄付も受け付けています。

ケニア共和国のケープタウンにあるクリニックで抗レトロウイルス薬 (ARV) による治療を受けるHIV陽性の小児とその母親 (Photo: DNDi)

顧みられない病気と闘うために 誰にでもできることがあります

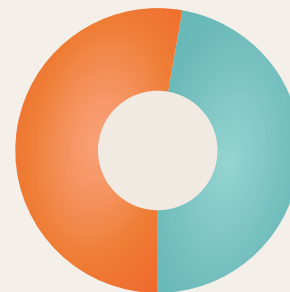
DNDiは、顧みられない病気で苦しむ患者のニーズに対応するため、世界中から専門知識を集めて蓄積することで、革新的な研究開発モデルを構築してきました。

6種類の新たな治療法を何百万人もの患者に届けてきましたが、「より簡便で低価格な治療薬を開発し、患者が治療を受けられるようにする」という約束を果たすためには、さらなる取り組みが必要です。創薬研究を通じ、最終的に開発された治療薬をすべての患者に確実に届けるためには、皆様のサポートが必要です。

顧みられない病気の治療に対するDNDiの取り組みにご理解とご協力をお願いします。

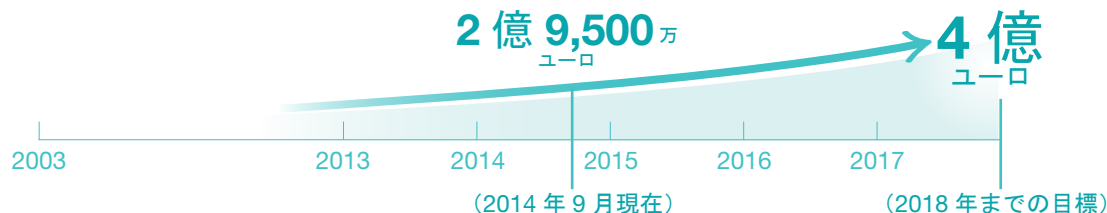
DNDiは、公的な支援と民間による支援のバランスを保つようにしています

公的寄付
政府や公的機関
からの寄付



民間寄付
財団、篤志家、
個人などからの寄付

資金援助の総額



信頼できるポートフォリオを構築し、11～13種類の治療薬・治療法を開発するために必要としています。



Drugs for Neglected Diseases *initiative*

DNDi は、患者のニーズに基づき、世界中で何百万人もの最貧困層の人々を苦しめている顧みられない病気のための、安全で有効かつ安価な医薬品を開発する非営利の研究開発組織です。アフリカ睡眠病、リーシュマニア症、シャーガス病、小児 HIV、フィラリア症、マラリアなどの新規治療薬・治療法を開発しています。

BEST
SCIENCE
FOR THE MOST
NEGLECTED

15 Chemin Louis-Dunant
1202 Geneva
Switzerland
Tel: +41 22 906 9230
Fax: +41 22 906 9231
dndi@dndi.org
www.dndi.org

DNDi AFRICA

c/o Centre for Clinical Research
Kenya Medical Research Institute
PO Box 20778
KNH 00202
Nairobi
Kenya
Tel: +254 20 273 3031
Tel: +254 20 207 7767

DNDi DRC

Avenue Milambo, n.4
Quartier Socimat
La Gombe, Kinshasa
Democratic Republic
of the Congo
Tel: +243 81 011 81 31

DNDi INDIA

F - 79 Green Park Main
New Delhi 110-016
India
Tel: +91 11 4550 1795

DNDi JAPAN

704 Nishi-Shinjuku KF Bldg
8-14-24 Nishi-Shinjuku
Shinjuku-ku
Tokyo 160-0023
Japan
Tel : +81-3-4550-1199
www.dndijapan.org

DNDi LATIN AMERICA

Rua Santa Heloisa 5
Jardim Botânico
Rio de Janeiro-RJ
22460-080
Brazil
Tel: +55 21 2215 2941
www.dndi.org.br

DNDi MALAYSIA

Administration Building,
IPharm-MOSTI
Blok 5-A, Halaman Bukit Gambir
11700 Pulau Pinang
Malaysia
Tel: +60 4 655 2829

DNDi NORTH AMERICA

40 Wall Street, 24th Floor
New York, NY 10005
USA
Tel: +1 646 616 8680
www.dndina.org

DNDiのビジョン

顧みられない病気のための治療薬・治療法を新しいモデルによって開発し、現地に適応した新たな治療薬・治療法への公平なアクセスを実現することにより、顧みられない病気で苦しむ人々の生活の質を向上させ、健康を増進していきます。

創設機関（7つの公的または民間の機関）

- 国境なき医師団
- インド医学研究評議会（インド）
- ケニア中央医学研究所（ケニア）
- マレーシア保健省（マレーシア）
- オズワルド・クルス財団（ブラジル）
- パスツール研究所（フランス）
- WHO 熱帯病医学特別研究訓練プログラム（WHO-TDR）：常任オブザーバー