



UMA NOVA ESPERANÇA PARA PACIENTES NEGLIGENCIADOS

DNDi AMÉRICA LATINA

Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Doenças Negligenciadas



Atuando em prol do interesse público, a *iniciativa Medicamentos para Doenças Negligenciadas (DND)*, em colaboração com a comunidade científica internacional, o setor público, a indústria farmacêutica e outros parceiros, descobre, desenvolve e disponibiliza novas terapias para pacientes que sofrem de algumas das doenças transmissíveis mais negligenciadas.

MILHÕES DE PACIENTES NECESSITAM DE TRATAMENTO

Doenças negligenciadas debilitam, desfiguram, cegam ou matam suas vítimas

Apesar dos significativos progressos da medicina nos últimos 50 anos, mais de 1 bilhão de pessoas, dentre elas 500 milhões de crianças, ainda sofrem de doenças para as quais não há tratamentos adequados disponíveis. As doenças negligenciadas podem manter pacientes acamados e improdutivos por semanas ou meses, perpetuando a pobreza. Os mais carentes – especialmente mulheres e crianças da África, Ásia e América Latina – que sobrevivem com um ou dois dólares por dia são os mais atingidos.

Há pouco incentivo para a pesquisa e desenvolvimento (P&D) de tratamentos melhores ou inteiramente novos. Os tratamentos atualmente disponíveis podem ser muito caros ou não adequados às necessidades médicas dos pacientes. E ainda pior: tratamentos adaptados, seguros e eficazes simplesmente não existem em alguns casos.

María Corina

“Sabia que o tratamento contra a doença de Chagas podia apresentar efeitos adversos e quando fui diagnosticada não quis me tratar. Eu me sentia bem e parecia não fazer diferença. Depois, fiquei grávida e o bebê nasceu com a doença. Sinto culpa, mas ele foi tratado e hoje está bem.”

Em Mizque, a 300 quilômetros de Cochabamba, Bolívia, uma mãe enfrenta com seu bebê o desafio de um tratamento e seus efeitos colaterais.

Os exames de Kaleb, um ano de idade, revelaram que o tratamento com benznidazol foi um sucesso. A eficácia de tratamento das crianças é de 90% a 100%. Este também é o grupo etário que melhor tolera o medicamento.

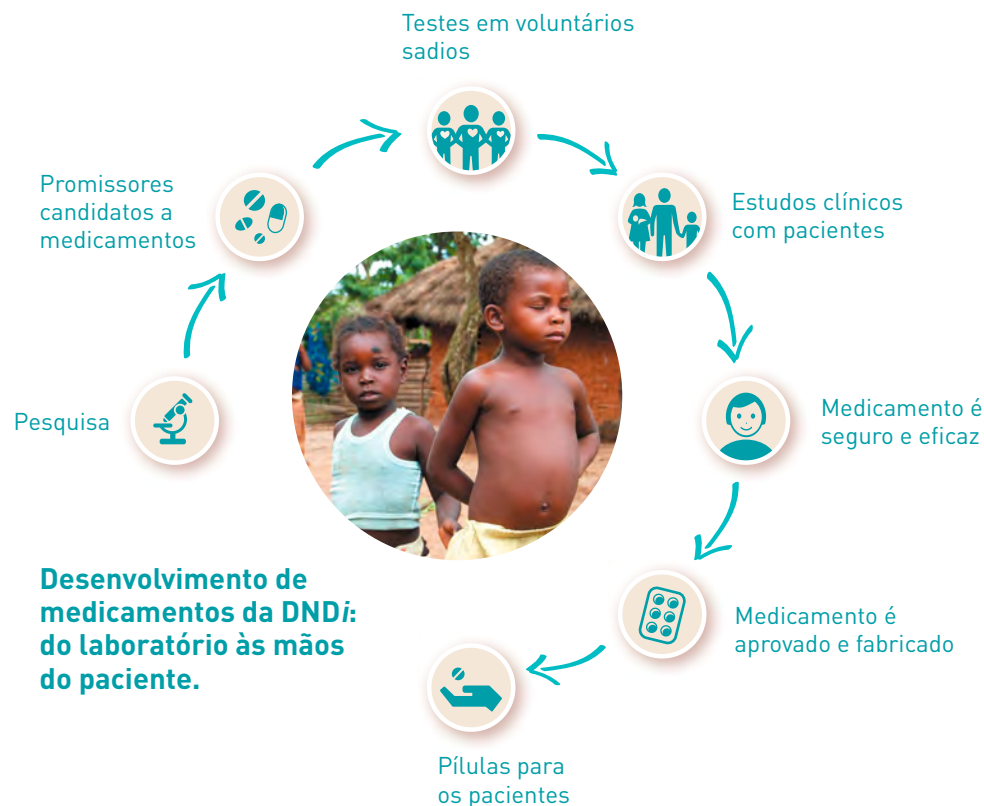
COMO COMBATEMOS AS DOENÇAS NEGLIGENCIADAS?

Trabalhando para transformar uma molécula nas bancadas de um laboratório em uma pílula nas mãos de um paciente

As necessidades dos pacientes – e não os lucros financeiros – ocupam o centro da nossa estratégia de desenvolvimento de medicamentos. Atuando como “maestro de uma orquestra virtual”, a DNDi reúne diferentes parceiros e experiências de todo o mundo com o objetivo de desenvolver de 11 a 13 novos tratamentos até 2018.

Nossa principal meta é o desenvolvimento de tratamentos orais, simples, seguros e eficazes que possam ser usados facilmente em áreas com sistema de saúde inadequado.

Este processo começa com pesquisadores testando centenas de milhares de moléculas em laboratório, geralmente provenientes de empresas farmacêuticas, para verificar quais destas moléculas demonstram atividade contra cada doença. Candidatos a medicamentos são, então, testados em voluntários saudáveis. Por fim, os pacientes são tratados com os medicamentos em estudos clínicos realizados em localidades onde as doenças negligenciadas são endêmicas. Se o medicamento for seguro e curar a doença, ele é fabricado e aprovado pela Organização Mundial de Saúde e pelas autoridades de saúde dos países.



Uma rede global de parceiros contribui para a missão da DNDi

Em mais de 40 países, a DNDi trabalha com uma gama de parceiros públicos e privados, incluindo 50 institutos públicos de pesquisa e universidades, 20 empresas farmacêuticas e biotecnológicas, governos, diversas organizações não governamentais e outros grupos da sociedade civil para desenvolver tratamentos como bens públicos, livres de patente, e garantir que sejam acessíveis e de baixo custo.



Desenvolvendo capacidade de pesquisa em países e comunidades diretamente afetados pelas doenças.

A DNDi criou plataformas (redes regionais de pesquisa) para doenças específicas com a finalidade de apoiar e estruturar a capacidade local para a realização de estudos clínicos em centros próximos aos pacientes. Infraestrutura e treinamento são fornecidos de forma a garantir o cumprimento de normas internacionais.

Assim, a DNDi contribui para a aceleração do desenvolvimento de medicamentos e a redução dos custos. Estratégias de curto prazo visam melhorar os tratamentos existentes, enquanto as estratégias de desenvolvimento de longo prazo concentram-se em medicamentos realmente inovadores.

AS DOENÇAS NEGLIGENCIADAS NÃO CHEGAM ÀS MANCHETES,

Pesquisa focada e resultados concretos para tratamentos necessários e urgentes



DOENÇA DO SONO

A doença do sono, ou tripanossomíase humana africana (HAT), é transmitida pela picada da mosca tsé-tsé. Pode causar debilidade mental grave e coma. **Se não tratada, a doença do sono é fatal.**

- 60 milhões de pessoas em situação de risco
- Afeta 36 países na África subsaariana, dos quais 8 relatam 97% de todos os casos; mais de dois terços na República Democrática do Congo (RDC)

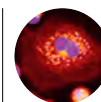
Há não muito tempo precisávamos tratar pacientes com a doença do sono com um composto derivado do arsênico e a pressão sobre os funcionários era imensa. Todos nós presenciamos a morte de pacientes durante o tratamento e, como médicos, era insuportável explicar o ocorrido para as famílias. Com o desenvolvimento do NECT, experimentamos uma primeira revolução na assistência médica. Ainda assim, um tratamento oral significaria uma verdadeira transformação!”



Dr. Nganzobo Pathou, Chefe de Gabinete, Bandundu Hospital Geral, RDC

Trabalho atual da DNDi

- Aumentar o acesso dos pacientes ao NECT, tratamento desenvolvido em 2009 pela DNDi e seus parceiros
- Completar o teste clínico de dois novos candidatos a medicamento de administração oral (fexinidazol e oxaborol SCYX-7158)



LEISHMANIOSE

A leishmaniose é transmitida pela picada da fêmea do mosquito-palha. A leishmaniose visceral (LV ou calazar) causa febre, perda de peso, inchaço do baço ou fígado, anemia, e é **fatal se não tratada**. A leishmaniose cutânea (LC) causa lesões desfigurantes na pele e estigmas sociais.

- 350 milhões de pessoas estão em situação de risco em 98 países
- O calazar afeta principalmente crianças menores de 5 anos de idade, especialmente no subcontinente indiano e na África Oriental
- 70% dos casos envolvem crianças com menos de 12 anos de idade; cerca de 15.000 crianças morrem todos os anos

Tive muito medo que meu filho morresse. Minha filha mais velha morreu com esta febre. Levei meu filho aos médicos muitas vezes antes e eles não sabiam o que ele tinha. Mas aqui no hospital descobriram que era leishmaniose. Ele começou a tomar os remédios e logo ficou bom. Hoje, eu vejo meu filho sorrindo e é muito bom.”



Margarida, 19 anos de idade, mãe de Joaquim, 9 meses de idade, Brasil

Trabalho atual da DNDi

- Aumentar, na África Oriental, o acesso dos pacientes ao tratamento com 17 dias de duração (SSG&PM), desenvolvido em 2010 pela DNDi e seus parceiros; e, na Ásia, aumentar o acesso às terapias combinadas
- Utilizar medicamentos atuais para testar tratamentos mais curtos, de menor custo e mais seguros
- Encontrar novos e promissores candidatos a medicamentos por via oral

MAS AFETAM MAIS DE UM BILHÃO DE PESSOAS NO MUNDO



DOENÇA DE CHAGAS

A doença de Chagas (tripanosomíase americana) é transmitida pela picada do barbeiro, assim como da mãe para o recém-nascido. É a principal causa de doenças cardíacas infecciosas na América Latina.

- 70 milhões de pessoas em risco, principalmente nas Américas
- 5,7 milhões de pessoas infectadas, resultando em cerca de 7.000 mortes por ano
- 2-10% das mães infectadas com a doença de Chagas em regiões endêmicas, como na Argentina e na Bolívia por exemplo, transmitem a doença aos seus bebês



Minha família descobriu que estávamos todos infectados com a doença de Chagas depois que meu pai faleceu com insuficiência cardíaca, devido à doença. Fomos todos tratados imediatamente, entretanto, meu irmão de 25 anos sofreu efeitos colaterais causados pelo medicamento e já apresenta problemas cardíacos.”

Daniel, 27 anos, Cochabamba, Bolívia

Trabalho atual da DNDi

- Consolidar o uso do benznidazol pediátrico
- Testar opções mais curtas (com menor custo e mais seguras) do tratamento existente
- Encontrar novos candidatos a medicamentos orais
- Defender o acesso dos pacientes ao tratamento (atualmente, apenas 1% dos pacientes é tratado)



FILARIOSES

As filariose são causadas por vermes parasitas transmitidos pela picada de moscas e mosquitos, causando cegueira, inchaço dos membros e órgãos genitais, coceira intensa e dor crônica.

- 1,5 bilhão de pessoas estão em risco
- 25 milhões de pessoas no mundo estão infectadas com oncocercose, a segunda maior causa infecciosa da cegueira no mundo
- Mais de 120 milhões de pessoas estão infectadas com elefantíase, com cerca de 40 milhões desfiguradas ou incapacitadas



Algumas pessoas não querem chegar perto de mim ou me tocar devido à minha condição. Não posso cuidar dos meus filhos e nem levá-los à escola porque não posso trabalhar.”

Akua Nyarku, 52 anos, Gana

Trabalho atual da DNDi

- Desenvolver um medicamento capaz de matar vermes adultos (macrofilaricida) com duplo objetivo: encurtar a duração da atual administração em massa de medicamentos (MDA) e ser usado no tratamento individual do paciente.



HIV PEDIÁTRICO

Sem tratamento, metade das crianças infectadas com HIV morrerá antes de completar dois anos de idade e 80% antes dos cinco.

- 3,3 milhões de crianças com HIV/AIDS
- 700 bebês são recém-infectados todos os dias e cerca de 600 morrem a cada dia, principalmente na África Subsaariana



Os medicamentos atuais têm um gosto terrível que causa ânsia de vômito nas crianças, momento de maior dificuldade para as mães. O que realmente precisamos é de uma medicação palatável para a criança, de uso mais fácil para os pais, capaz de ser armazenada em temperatura ambiente, e, de preferência, composta por quatro medicamentos em uma formulação!”

Dr. Els Dobbels, especialista em HIV pediátrico, Hospital Tygerberg, África do Sul

Trabalho atual da DNDi

- Desenvolver duas formulações antirretrovirais (ARV) simples, em um único comprimido, de sabor agradável para bebês e crianças pequenas, e que não necessite refrigeração
- Desenvolver uma formulação reforçada para crianças coinfectadas com HIV/tuberculose

SEIS NOVOS TRATAMENTOS DISPONÍVEIS E UM PORTFÓLIO DE

Fáceis de usar, acessíveis, adaptados a condições locais, livres de patente

Malária

ASAQ

2007



(Combinação em dose fixa de artesunato + amodiaquina)

- Parceria inovadora com a Sanofi
- Dosagem simples: 1 ou 2 comprimidos uma vez ao dia por 3 dias
- Registrado em 35 países, sendo 31 na África
- Pré-qualificado pela Organização Mundial de Saúde (OMS)
- Incluído na Lista de Medicamentos Essenciais da OMS (para adultos e crianças)

320 milhões

de pessoas tratadas em 31 países da África

Malária

ASMQ

2008



(Combinação em dose fixa de artesunato + mefloquina)

- Desenvolvido por DNDi e Farmanguinhos/Fiocruz, no Brasil
- Dosagem simples e adaptada para crianças e adultos
- Registros: Brasil (2008), Índia (2011), Malásia e Myanmar (2012), Tanzânia (2013), Vietnã e Níger (2014)
- Transferência de tecnologia Sul-Sul, de Farmanguinhos para Cipla, na Índia
- Pré-qualificado pela OMS (Cipla)
- Incluído na Lista de Medicamentos Essenciais da OMS (adultos e crianças)

1,2 milhão

de pessoas tratadas na América Latina e na Ásia

Doença do sono

NECT

2009



(Combinação terapêutica de nifurtimox + eflornitina)

- Parceria entre DNDi, MSF, governos, empresas farmacêuticas e OMS
- Cerca de 96% de todos os pacientes de HAT em estágio 2 nos países endêmicos tratados com NECT (2013)
- Incluído na lista de Medicamentos Essenciais da OMS (adultos e crianças)
- Presente em listas de medicamentos essenciais de 12 países africanos (cobrindo 98% dos casos registrados)

13.000

tratamentos na África

Leishmaniose visceral

SSG&PM

2010



(Terapia combinada de estibogluconato de sódio e paromomicina)

- Parceria entre DNDi, Plataforma da África Oriental contra Leishmaniose (LEAP), programas nacionais de controle do Quênia, Sudão, Etiópia e Uganda, MSF e OMS
- Recomendado pelo Comitê de Especialistas da OMS para o Controle da Leishmaniose na África Oriental (2010)
- Diretrizes nacionais para LV do Sudão, Sudão do Sul, Quênia e Etiópia
- Paromomicina registrada em Uganda (2011) e Quênia (2013); registro em andamento em outros países da África Oriental

25.000

pessoas tratadas na África Oriental

Leishmaniose visceral

NOVOS TRATAMENTOS

2011

Novos tratamentos para a LV na Índia



(SD AmBisome®/PM+M/PM+A®)

- Programa de implementação em larga escala com autoridades de saúde estaduais, nacionais e regionais
- Alta eficácia e bons perfis de segurança
- Adaptados a condições locais
- Recomendados pelo Comitê de Especialistas da OMS para o Controle da Leishmaniose (2010)

SD AmBisome® e PM+M

recomendados

na revisão do roteiro para eliminação da LV na Índia

Doença de Chagas

Benznidazol

12,5 mg

2011



(Formulação em dose pediátrica do benznidazol)

- Parceria com LAFEPE, Brasil
- Tratamento adaptado à faixa etária, fácil de usar e acessível
- Comprimidos de fácil dissolução em água para crianças menores de 2 anos
- Registrado no Brasil em 2011
- Incluído na Lista de Medicamentos Essenciais da OMS
- Acordo com a Fundação Mundo Sano para a segunda fonte de produção do tratamento (2013)

Única formulação com

dosagem adaptada para crianças

PROMISSORES NOVOS MEDICAMENTOS



**13 novos candidatos
a medicamentos**

(novas entidades químicas)
no portfólio



**25 estudos clínicos realizados
em uma década** em áreas remotas,
rurais, afetadas por conflitos
ou com recursos limitados;
33.000 pacientes envolvidos

57 centros de estudos clínicos
em todo o mundo para
13 projetos em desenvolvimento clínico



Todos os estudos são realizados
em conformidade com os
**padrões internacionais
de ética e qualidade**



Serafín



Esperei dois meses e o medicamento nunca chegou. Só consegui ser tratado a quase 200 quilômetros de distância, quando já tinha 98 lesões pelo corpo e não podia mais trabalhar. Mesmo assim quase desisti do tratamento, achei que as injeções diárias seriam o meu fim.”

**O acesso a tratamentos
que salvam vidas é um
direito humano**

Serafín, 40 anos, mineiro de Chocó, na costa Colombiana do Pacífico, precisou enfrentar uma doença que, mesmo não fatal, representa uma ameaça à vida das pessoas. Serafín hoje está bem, mas os pacientes que sofrem desta doença continuam à sombra de um grande estigma social e um tratamento que pode causar a morte. A DNDi está buscando alternativas mais seguras e de uso mais simples para tratamento contra a leishmaniose cutânea.



Todos podem contribuir – seja um doador individual, financiador público, empresa ou fundação. Pode-se apoiar o desenvolvimento de novos tratamentos por meio do financiamento de um projeto completo ou a luta contra uma doença específica, ou mesmo cooperar com programas de capacitação, de renovação de um centro clínico ou da compra de equipamentos para ensaios clínicos em laboratórios locais.

JUNTE-SE A NÓS NA LUTA CONTRA AS DOENÇAS NEGLIGENCIADAS!

A DNDi criou um modelo inovador de P&D ao reunir conhecimentos especializados de todo o mundo para atender às necessidades de pacientes que sofrem de doenças negligenciadas.

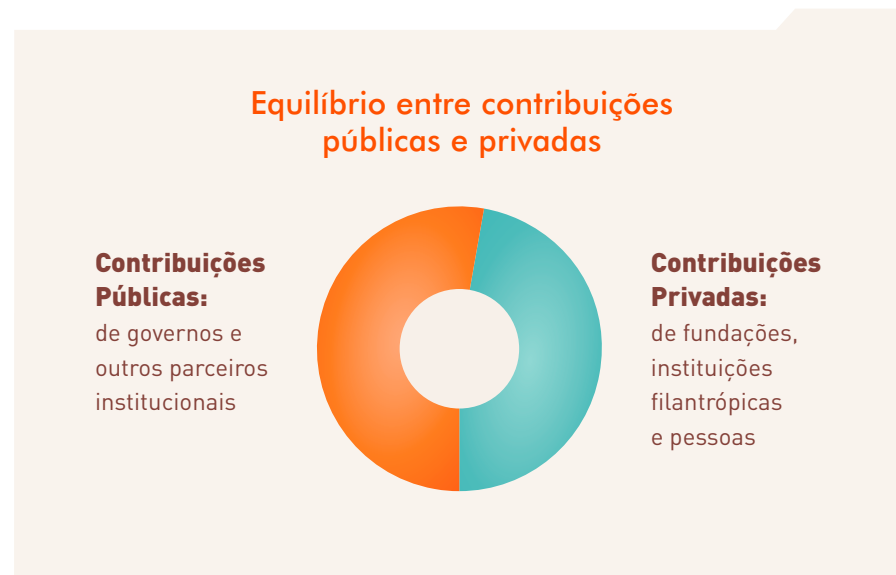
A DNDi já disponibilizou seis novos tratamentos para milhões de pacientes, mas há muito que ainda precisa ser feito para concretizar nossa promessa de desenvolver e assegurar tratamentos mais simples e acessíveis. Desde a descoberta, nas primeiras etapas da pesquisa, até a garantia de levar tratamentos a pacientes em locais de difícil acesso, precisamos do seu apoio.

Ajude-nos a mudar a trajetória das doenças negligenciadas, apoiando o desenvolvimento de novos tratamentos hoje.

Todos nós temos um papel a cumprir, seja grande ou pequeno



Necessário para desenvolver e disponibilizar de 11 a 13 tratamentos e manter um portfólio robusto





Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Doenças Negligenciadas

A *iniciativa* Medicamentos para Doenças Negligenciadas (DNDi, na sigla em inglês de Drugs for Neglected Diseases *initiative*) é uma organização sem fins lucrativos de Pesquisa e Desenvolvimento (P&D) orientada pelas necessidades dos pacientes, que desenvolve tratamentos seguros, eficazes e acessíveis para as doenças negligenciadas, que afetam milhões de pessoas em situação vulnerável, em particular a doença de Chagas, as leishmanioses, a doença do sono (Tripanossomíase Humana Africana - HAT), o HIV pediátrico, as filaríases e a malária.

A MELHOR
CIÊNCIA
PARA OS MAIS
NEGLIGENCIADOS

Visão da DNDi

Melhorar a qualidade de vida e a saúde das pessoas que sofrem de doenças negligenciadas, com um modelo alternativo de desenvolvimento de medicamentos para essas doenças e assegurando o acesso igualitário a novas e relevantes ferramentas de saúde.

Parceiros fundadores:

- Médicos Sem Fronteiras (MSF)
- Conselho Indiano de Pesquisa Médica (ICRM), Índia
- Instituto de Pesquisa Médica do Quênia (KEMRI), Quênia
- Ministério da Saúde, Malásia
- Fundação Oswaldo Cruz, Brasil
- Instituto Pasteur, França
- Programa Especial para Pesquisa e Treinamento em Doenças Tropicais (TDR) da Organização Mundial da Saúde (OMS) (observador permanente)

DNDi AMÉRICA LATINA

Rua Santa Heloisa, 5
Jardim Botânico
Rio de Janeiro, RJ
22460-080
Brasil
Tel.: +55 21 22152941
www.dndial.org

SEDE DNDi

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

DNDi ÁFRICA

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 AMÉRICA DO NORTE

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

DNDi RDC

4 avenue Milambo
Quartier Socimat
La Gombe, Kinshasa
République Démocratique du Congo
Tel.: +243 81011 81 31

DNDi ÍNDIA

PHD House, 11th Floor,
4/2 Siri Institutional Area,
August Kranti Marg,
New Delhi 110016.
India

DNDi JAPÃO

704 Nishi-Shinjuku KF Bldg
8-14-24 Nishi-Shinjuku, Shinjuku-ku
Tokyo 160-0023
Japan
Tel.: +81 (0)3 4550 1199
www.dndijapan.org

DNDi MALÁSIA

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