



UNA NUEVA ESPERANZA

PARA PACIENTES
OLVIDADOS

DNDi AMÉRICA LATINA

Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Enfermedades Olvidadas



Al actuar de acuerdo con el interés público, la iniciativa Medicamentos para Enfermedades Olvidadas (DNDí, por sus siglas en inglés de *Drugs for Neglected Diseases initiative*), en colaboración con la comunidad internacional de investigación, el sector público, la industria farmacéutica y otros socios colaboradores relevantes, descubre, desarrolla y pone a disposición nuevos tratamientos para pacientes que padecen algunas de las enfermedades transmisibles más olvidadas.

MILLONES DE PACIENTES NECESITAN TRATAMIENTO

Las enfermedades olvidadas debilitan, desfiguran, encefalecen o matan a sus víctimas

A pesar de los significativos progresos de la medicina en los últimos 50 años, más de mil millones de personas, incluidos 500 millones de niños, todavía sufren de enfermedades para las cuales no hay tratamientos adecuados disponibles. Las enfermedades olvidadas pueden dejar a los pacientes en cama o imposibilitados para trabajar durante semanas o meses, perpetuando así la pobreza. Las poblaciones más carenciadas, particularmente las mujeres y los niños en África, Asia y América Latina que viven con uno o dos dólares al día, son las más perjudicadas.

Hay muy poco incentivo para la investigación y el desarrollo (I+D) de tratamientos mejores a los actuales o totalmente nuevos. Los tratamientos disponibles pueden ser muy costosos o no estar adecuados a las necesidades médicas de los pacientes. No obstante, lo que es peor en algunos casos, es que simplemente no existen tratamientos efectivos, seguros y adaptados.

María Corina

“Yo ya sabía que el tratamiento para la enfermedad de Chagas podría tener efectos adversos, por lo que cuando me diagnosticaron, no quise tratarme. Me sentía bien, por entonces no me parecía que hubiese diferencia. Después, quedé embarazada y el bebé nació con la enfermedad. Siento algo de culpa pero él fue tratado y hoy está bien”.

En Mizque, a 300 kilómetros de Cochabamba, Bolivia, una madre con su bebé se enfrenta al reto de un tratamiento y sus efectos secundarios.

Los exámenes de Kaleb, de un año de edad, revelan que el tratamiento con benznidazol fue un éxito. La eficacia del tratamiento en niños es desde el 90% al 100%. Es el grupo etario que mejor tolerancia tiene al medicamento.

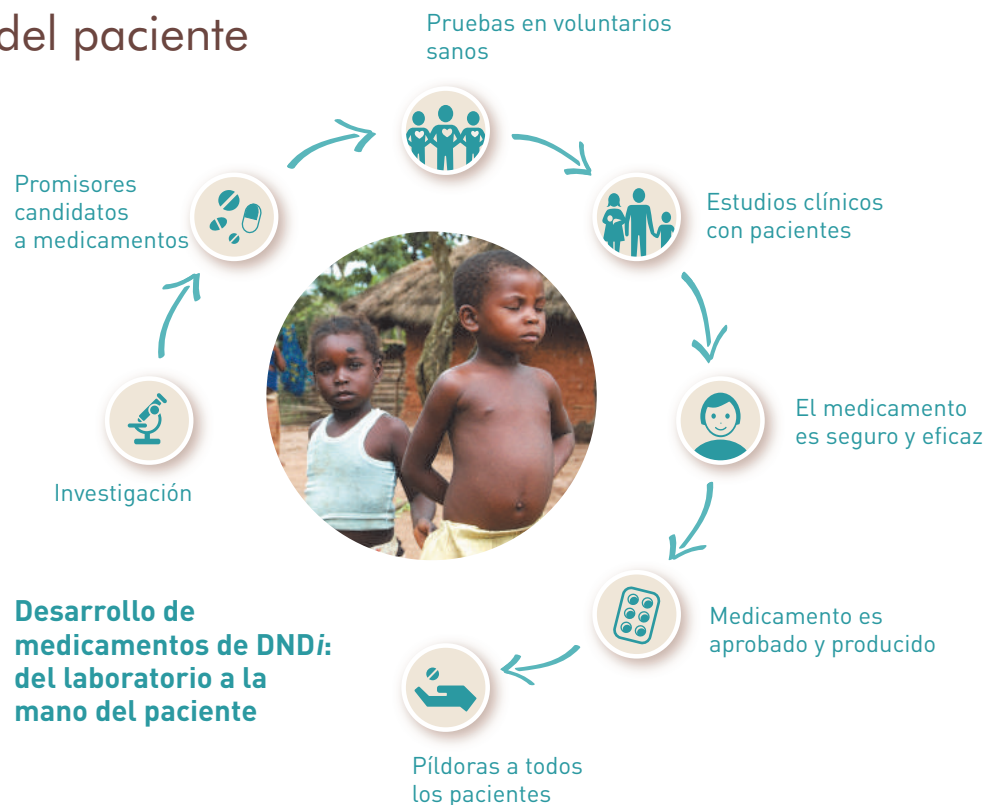
¿CÓMO LUCHAMOS CONTRA LAS ENFERMEDADES OLVIDADAS?

Trabajando desde el laboratorio para convertir una molécula en una píldora en las manos del paciente

Las necesidades del paciente – y no el lucro financiero – son la clave para nuestra estrategia de desarrollo de medicamentos. Como “director de una orquesta virtual”, DNDi reúne a diferentes socios y especialistas de todo el mundo con el objetivo de desarrollar de 11 a 13 tratamientos nuevos para el año 2018.

Nuestra meta principal es desarrollar tratamientos orales simples, efectivos y seguros que sean fáciles de usar en áreas con sistemas sanitarios limitados.

Este proceso se inicia con los investigadores que analizan en los laboratorios cientos de miles de moléculas (las que generalmente son disponibilizadas por empresas farmacéuticas) para ver cuáles son activas contra cada enfermedad. Se prueban medicamentos que ofician como candidatos promisorios en voluntarios sanos. Finalmente, los pacientes son tratados con esos medicamentos en estudios clínicos en lugares donde las enfermedades olvidadas son endémicas. Si el medicamento es seguro y cura la enfermedad, se produce y recibe la aprobación de la Organización Mundial de la Salud y las autoridades sanitarias nacionales.



Una red mundial de colaboradores apoya la misión de DNDi

En más de 40 países, DNDi trabaja con una amplia red de socios públicos y privados, incluidos 50 institutos públicos de investigación y universidades, 20 empresas farmacéuticas y biotecnológicas, gobiernos, diversas organizaciones no gubernamentales y otros grupos de la sociedad civil, a fin de desarrollar tratamientos como bienes públicos, no patentados, y de garantizar que sean accesibles y económicos.



Desarrollando la capacidad de investigación en países y comunidades directamente afectadas por las enfermedades

DNDi ha establecido plataformas – o redes regionales de investigación – para enfermedades específicas con la finalidad de **apoyar y estructurar la capacidad a nivel local realizando ensayos clínicos en centros cercanos a los pacientes**. Infraestructura y capacitación son colocados a disposición para garantizar que se cumplan los estándares internacionales.

De este modo, DNDi contribuye para la **aceleración del desarrollo de medicamentos y la reducción de los costos**. Las estrategias a corto plazo tienen como fin mejorar los tratamientos actuales, mientras que las estrategias de desarrollo a largo plazo se enfocan en medicamentos realmente innovadores.

LAS ENFERMEDADES OLVIDADAS NO OCUPAN LOS GRANDES TITULARES, PERO

Investigación orientada y resultados concretos: tratamientos urgentemente necesarios



ENFERMEDAD DEL SUEÑO

La enfermedad del sueño, o la tripanosomiasis humana africana (HAT), se transmite por la picadura de la mosca tsé-tsé. Puede producir un debilitamiento mental grave e inducir un coma. Si no se trata, la enfermedad del sueño es fatal.

- Hay 60 millones de personas en situación de riesgo
- Afecta a 36 países de África subsahariana, de los cuales 8 reportan el 97% de todos los casos, ocurriendo dos tercios en la República Democrática del Congo

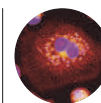
No hace mucho tiempo atrás, tuvimos que tratar a pacientes con la enfermedad del sueño utilizando un derivado del arsénico, por lo que fue inmensa la presión sobre nuestro personal. Todos presenciamos la muerte de algún paciente por causa del tratamiento y, como médicos, era insoportable tener que comunicar eso a sus familiares. A partir del desarrollo de NECT, hemos experimentado nuestra primera revolución en la atención médica. ¡Aun así, un tratamiento de administración oral sería una gran transformación!”

Dr. Nganzobo Pathou, Jefe de Personal, Hospital General de Bandundu, RDC



Trabajo actual de DNDi

- Aumentar el acceso del paciente a NECT, un tratamiento desarrollado en 2009 por DNDi y sus socios
- Completar los ensayos clínicos de dos nuevos candidatos a medicamentos de administración por vía oral (fexinidazol y oxaborol SCYX-7158)



LEISHMANIASIS

La leishmaniasis se transmite mediante la picadura de un mosquito hembra, conocido como palomilla.

La leishmaniasis visceral (LV o kala azar) produce fiebre, pérdida de peso, aumento exagerado de bazo e hígado, anemia y es fatal si no es tratada. La leishmaniasis cutánea (LC) produce lesiones en la piel que pueden desfigurar al paciente y generar estigmas sociales.

- 350 millones de personas están en riesgo en 98 países
- El kala azar afecta en mayor medida a niños menores de 5 años de edad, principalmente en Subcontinente indio y África Oriental
- El 70% de los casos incluye a niños menores de 12 años de edad; aproximadamente 15.000 niños mueren todos los años

Tuve mucho miedo de que mi hijo muriese. Mi hija mayor murió con esa fiebre. Lo llevé a diferentes médicos y ninguno sabía decirme qué tenía. No obstante, aquí en el hospital descubrieron que era leishmaniasis. El comenzó a tomar los remedios y mejoró mucho. Hoy veo a mi bebé sonriendo y eso es muy bueno.”

Margarida, 19 años, mamá de Joaquim, de 9 meses de edad, Piauí, Brasil



Trabajo actual de DNDi

- Aumentar el acceso de los pacientes al tratamiento de 17 días de duración (SSG&PM), desarrollado en 2010 por DNDi y sus socios, en África Oriental; Y en Asia, a las terapias combinadas
- Evaluar tratamientos más cortos, económicos y seguros con el uso de medicamentos actuales
- Encontrar nuevos y promisorios candidatos para medicamentos orales

AFECTAN A MÁS DE MIL MILLONES DE PERSONAS EN TODO EL MUNDO



ENFERMEDAD DE CHAGAS

La enfermedad de Chagas (tripanosomiasis americana) se transmite a través de la picadura de la vinchuca, así como también de la madre al recién nacido. Es la causa principal de las enfermedades cardíacas infecciosas en América Latina.

- 70 millones de personas están en riesgo, principalmente en el continente americano
- 5,7 millones de personas infectadas y aproximadamente unas 7.000 muertes por año
- Del 2 al 10% de las madres infectadas con la enfermedad en regiones endémicas, como en Argentina y en Bolivia, por ejemplo, transmiten la enfermedad a sus bebés

Mi familia descubrió que estábamos todos infectados con la enfermedad de Chagas después de que mi padre falleció de un ataque al corazón a causa de esa enfermedad. Todos nos tratamos inmediatamente, pero mi hermano de 25 años de edad sufrió los efectos secundarios causados por el medicamento y al día de hoy padece de problemas cardíacos”.



Daniel, 27 años de edad, Cochabamba, Bolivia

Trabajo actual de DNDi

- Implementar el uso del benznidazol pediátrico
- Evaluar opciones de tratamiento más cortas, económicas y seguras con el uso de medicamentos actuales
- Encontrar nuevos promotores candidatos a medicamentos orales
- Proponer un mayor acceso de los pacientes al tratamiento [actualmente solo el 1% accede al tratamiento]



FILARIASIS

La filariasis se contrae por los gusanos parasitarios que se transmiten a través de la picadura de moscas y mosquitos, causando ceguera, inflamación de las extremidades y los genitales, picazón intensa y dolor crónico.

- 1,5 mil millones de personas están en riesgo
- 25 millones de personas en todo el mundo están infectadas con la ceguera de los ríos (oncocercosis), la segunda causa infecciosa de ceguera en el mundo
- Más de 120 millones de personas están infectadas con elefantiasis, de las cuales aproximadamente 40 millones están discapacitadas o desfiguradas

Algunas personas no quieren acercarse a mí ni tocarme a causa de mi enfermedad. No puedo cuidar a ninguno de mis hijos ni enviarlos a la escuela porque no puedo trabajar”.



Akua Nyarku, 52 años de edad, Ghana

Trabajo actual de DNDi

- Desarrollar un medicamento que mate a los gusanos adultos (macrofilaricida) y con doble alcance: que pueda aplicarse para disminuir la duración de las actuales administraciones masivas de medicamentos (MDA) y que pueda usarse en el tratamiento individual de pacientes.



VIH PEDIÁTRICO

Sin el debido tratamiento, la mitad de los niños infectados con VIH morirán antes de los 2 años de edad y el 80% hasta la edad de cinco años.

- 3,3 millones de niños con VIH/SIDA
- 700 bebés afectados por día; 600 mueren diariamente, la mayoría en África subsahariana

Los medicamentos actuales tienen un sabor terrible que hace que los niños quieran vomitar... y esa es la constante lucha de las madres. Lo que realmente necesitamos es un medicamento que tenga un mejor sabor para los niños, que sea fácil de manipular para los padres, que pueda almacenarse a temperatura ambiente e, idealmente, que tenga cuatro fármacos dentro de una sola formulación”.



Dra. Els Dobbels, especialista en VIH pediátrico, Tygerberg Hospital, Sudáfrica

Trabajo actual de DNDi

- Desarrollar dos formulaciones antirretrovirales (ARV) simples, en una única tableta, de sabor agradable, diseñada para bebés y niños pequeños y que no requiera refrigeración
- Desarrollar una formulación especial para niños coinfectados con VIH/tuberculosis

SEIS NUEVOS TRATAMIENTOS DISPONIBLES Y UN PORTAFOLIO DE

Fáciles de usar, económicos, adaptados a las respectivas condiciones locales, libres

Malaria

ASAQ

2007



(Combinación en dosis fija de artesunato + amodiaquina)

- Cooperación innovadora con Sanofi
- Régimen simple: 1 o 2 comprimidos una vez al día durante 3 días
- Registrado en 35 países, de los cuales 31 en África
- Precalificado por la Organización Mundial de la Salud (OMS)
- Incluido en la lista de medicamentos esenciales de la OMS (para adultos y niños)

320 millones

de personas tratadas en 31 países africanos

Malaria

ASMQ

2008



(Combinación en dosis fija de artesunato + mefloquina)

- Desarrollado por DNDi y Farmanguinhos/Fiocruz, en Brasil
- Régimen simple y adaptado para niños y adultos
- Registrado en: Brasil (2008), India (2011), Malasia y Myanmar (2012), Tanzania (2013), Vietnam y Niger (2014)
- Transferencia de tecnología Sur-Sur de Farmanguinhos a Cipla, India
- Precalificado por la OMS (Cipla)
- Incluido en la lista de medicamentos esenciales de la OMS (para adultos y niños)

1,2 millones

de personas tratadas en América Latina y Asia

Enfermedad del sueño

NECT

2009



(Tratamiento combinado de nifurtimox + eflornitina)

- Colaboración entre DNDi, MSF, los gobiernos, las empresas farmacéuticas y la OMS
- Aproximadamente el 96 % de pacientes en etapa 2 de HAT en países endémicos tratados con NECT (2013)
- Incluido en la lista de medicamentos esenciales de la OMS (para adultos y niños)
- Presente en las listas de medicamentos esenciales de 12 países africanos (abarcan el 98% de los casos informados)

13.000

tratamientos en África

Leishmaniasis visceral

SSG&PM

2010



(Tratamiento combinado de estibogluconato sódico y paromomicina)

- Colaboración entre DNDi, la Plataforma de África Oriental contra la Leishmaniasis (LEAP), programas de control nacional de Kenia, Sudán, Etiopía y Uganda, MSF y la OMS
- Recomendado por el Comité de Expertos de la OMS para el Control de la Leishmaniasis para África Oriental (2010)
- Guías nacionales sobre la LV de Sudán, Sudán del Sur, Kenia y Etiopía
- Paromomicina registrada en Uganda (2011) y en Kenia (2013); proceso de registro en otros países de África Oriental

25.000

pacientes tratados en el Este de África

Leishmaniasis visceral

NUEVOS TRATAMIENTOS

2011

contra la LV en la India



(SD AmBisome®/PM+M/PM+A®)

- Programa de implementación a gran escala con las autoridades sanitarias a nivel nacional, provincial y regional
- Alta eficacia y buen perfil de seguridad
- Adaptados a las condiciones locales
- Recomendados por el Comité de Expertos de la OMS para el Control de la Leishmaniasis (2010)

SD AmBisome® y PM+M

recomendados

en la revisión de los planes de eliminación de la LV en la India

Enfermedad de Chagas

Benznidazol

12,5 mg

2011



(Formulación farmacéutica pediátrica del benznidazol)

- Asociación con LAPEPE, Brasil
- Tratamiento fácil de usar, adaptado a la franja etaria y económico
- Comprimidos fácilmente dispersables en agua para niños menores de 2 años de edad
- Registrado en Brasil en 2011
- Incluido en la lista de medicamentos esenciales de la OMS
- Acuerdo con la Fundación Mundo Sano para una segunda fuente de producción del tratamiento (2013)

Única formulación con

dosis adaptada a niños

PROMISORIOS NUEVOS MEDICAMENTOS

de patente



**13 nuevos candidatos
a medicamentos**

(nuevas entidades químicas)
en el portafolio



**25 estudios clínicos realizados
en una década** en zonas remotas,
rurales, con recursos limitados
o afectadas por conflictos;

33.000 pacientes involucrados

57 centros de estudios clínicos
en todo el mundo para **13 proyectos**
en desarrollo clínico



Todos los estudios se realizan
de acuerdo con las
**normas internacionales
de ética y calidad**



Serafín



Esperé dos meses y el medicamento nunca llegó. Solamente conseguía ser tratado casi a 200 kilómetros de distancia de donde vivía, cuando ya tenía 98 heridas en el cuerpo y no podía ni siquiera trabajar. Incluso así, casi abandono el tratamiento, creía que las inyecciones diarias serían mi final”.

El acceso a tratamientos que salvan vidas es un derecho humano

Serafín, 40 años, minero del Chocó, costa del Pacífico de Colombia, tuvo que enfrentarse a una enfermedad que, aunque no es fatal, implica una amenaza a la vida de las personas. Serafín hoy está bien, pero los pacientes que sufren esta enfermedad continúan bajo la sombra de un gran estigma social y un tratamiento que puede hasta causar la muerte. DNDi está buscando alternativas más seguras y fáciles de usar para el tratamiento de la leishmaniasis cutánea.



Todos pueden contribuir – ya sea un donador individual, un financiador público, una empresa o una fundación – y así apoyar el desarrollo de nuevos tratamientos financiando un proyecto completo o luchando contra enfermedades específicas a través de programas de capacitación, renovación de centros clínicos o compra de equipos de ensayos clínicos para laboratorios locales.

¡AYÚDENOS A COMBATIR LAS ENFERMEDADES OLVIDADAS!

DNDi ha creado un modelo innovador de I+D al reunir conocimientos especializados de todo el mundo a fin de abordar las necesidades de los pacientes que padecen de enfermedades olvidadas.

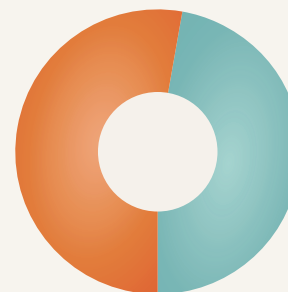
DNDi ha entregado seis nuevos tratamientos para millones de pacientes, sin embargo, aún queda mucho por hacer para cumplir nuestra promesa de desarrollar y poner a disposición tratamientos más simples y económicos. Desde la detección temprana hasta la garantía de tratamientos para pacientes en lugares remotos, necesitamos su apoyo.

Ayúdenos hoy a cambiar la trayectoria de las enfermedades olvidadas al dar su apoyo al desarrollo de nuevos tratamientos.

Manteniendo el equilibrio
entre contribuciones públicas y privadas

**Contribuciones
públicas:**

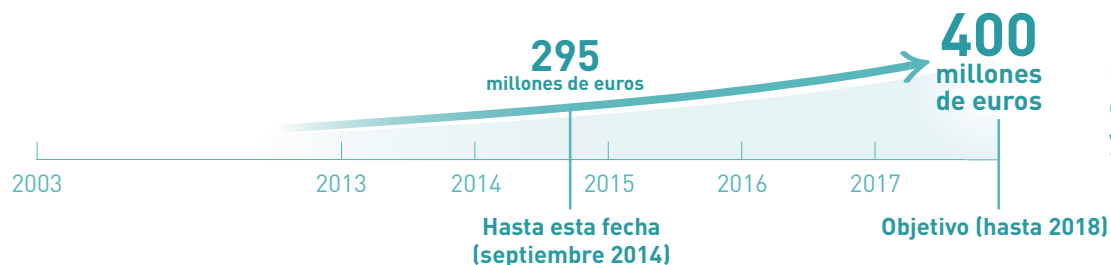
de gobiernos y otros
socios colaboradores
institucionales



**Contribuciones
privadas:**

de fundaciones,
instituciones
filantrópicas y
donadores privados

Todos tenemos un rol que desempeñar, ya sea grande o pequeño



Necesario para desarrollar y
entregar de 11 a 13 tratamientos
y mantener un portafolio robusto



Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Enfermedades Olvidadas

La iniciativa Medicamentos para Enfermedades Olvidadas (DNDi, por sus siglas en inglés de Drugs for Neglected Diseases *initiative*) es una organización sin fines de lucro de Investigación y Desarrollo (I+D) orientada por las necesidades de los pacientes, que desarrolla tratamientos seguros, eficaces y accesibles para las enfermedades olvidadas que afectan a millones de personas en situación de vulnerabilidad. Entre esas enfermedades, están la enfermedad del sueño, la leishmaniasis, la enfermedad de Chagas, el VIH pediátrico, la filariasis y la malaria.

LA MEJOR
CIENCIA
PARA LOS MÁS
OLVIDADOS

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
Kenia
Tel.: +254 20 273 3031
Tel.: +254 20 207 7767

DNDi AMÉRICA DEL 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
Democratic Republic of the Congo
Tel.: +243 81011 81 31

Visión de DNDi

Mejorar la calidad de vida y la salud de las personas que sufren de enfermedades olvidadas, por medio de un modelo alternativo de desarrollo de medicamentos orientado para estas enfermedades y al garantizar el acceso equitativo a nuevas y relevantes herramientas de salud.

Socios fundadores:

- Médicos Sin Fronteras (MSF)
- Consejo para la Investigación Médica de la India (ICMR), India
- Instituto de Investigación Médica de Kenia (KEMRI), Kenia
- Ministerio de Salud, Malasia
- Fundación Oswaldo Cruz, Brasil
- Instituto Pasteur, Francia
- Programa Especial de Investigación y Capacitación en Enfermedades Tropicales (TDR) de la Organización Mundial de la Salud (OMS) (observador permanente).

DNDi INDIA

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

DNDi JAPÓN

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 MALASIA

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