

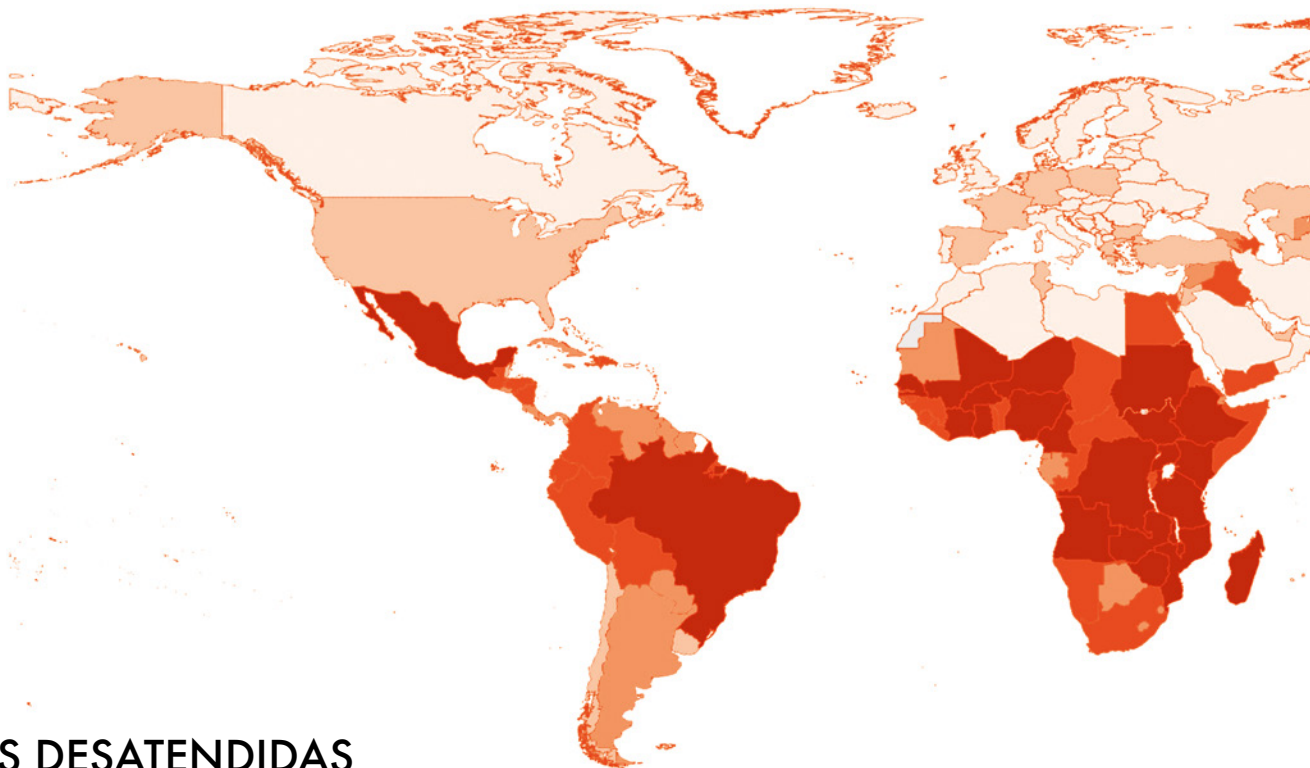


INNOVACIÓN Y ACCESO PARA POBLACIONES DESATENDIDAS

DNDi AMÉRICA LATINA

Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Enfermedades Olvidadas



VIDAS DESATENDIDAS

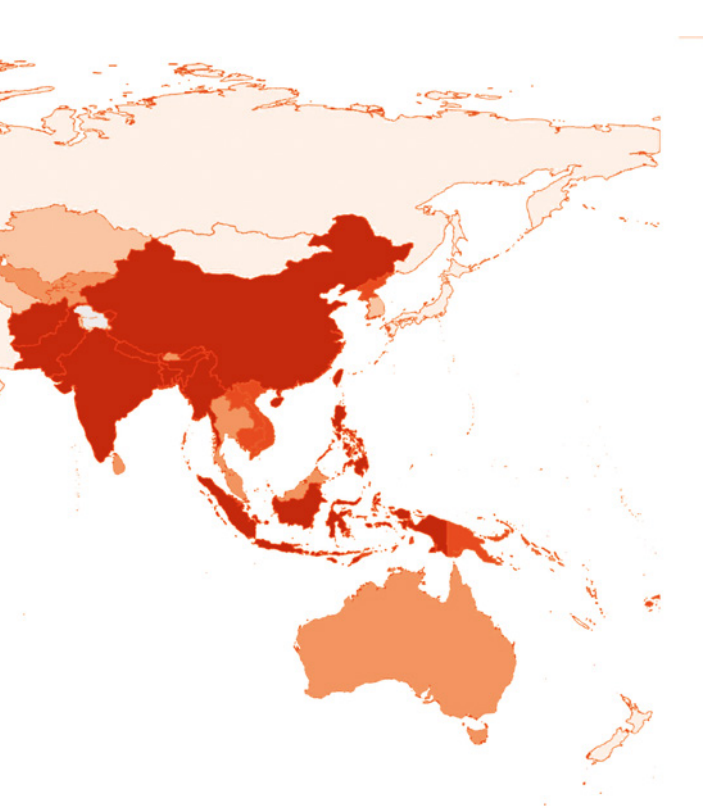
En las últimas décadas, el avance de la medicina ha cambiado el panorama de la salud global. La innovación en la salud ha permitido que la humanidad viva más y mejor. Sin embargo, una parte significativa de la población todavía permanece al margen de esta revolución.

MIL MILLONES DE PERSONAS AFECTADAS POR ENFERMEDADES DESATENDIDAS

En todo el mundo, aproximadamente mil millones de personas son afectadas por las llamadas enfermedades tropicales desatendidas, un grupo de 20 enfermedades así clasificadas por la Organización Mundial de la Salud por afectar sobre todo a poblaciones vulnerables, con recursos financieros escasos y acceso limitado a los servicios de salud, que viven en áreas remotas o con saneamiento precario.

Como no representan un mercado suficientemente lucrativo para la industria farmacéutica, prácticamente no existe inversión en investigación y desarrollo para estas enfermedades. Sin innovación, los tratamientos son antiguos, ineficaces, tóxicos o simplemente inexistentes, y a veces agravan el sufrimiento de los pacientes.

Las consecuencias de este cuadro trascienden la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por las enfermedades. Impedidas de concurrir a la escuela o trabajar por cuestiones de salud o por el estigma social, dejan de contribuir económicamente con su comunidad, lo que desacelera el desarrollo y perpetúa el ciclo de pobreza.



Número de personas que necesitaron tratamiento y cuidado para las enfermedades desatendidas en el año 2016 según la Organización Mundial de la Salud

- menos de 30
- de 31 a 15 000
- de 15 001 a 850 000
- de 850 001 a 9 000 000
- más de 9 000 000
- no aplicable

Enfermedades tropicales desatendidas según la Organización Mundial de la Salud:

Dengue y chikungunya; dracunculosis; enfermedad de Chagas; enfermedad del sueño (trpanosomiasis africana humana); enfermedades transmitidas por alimentos; equinocosis; escabiosis y otras ectoparasitosis; esquistosomiasis; filariasis linfática (elefantiasis); helmintiasis transmitidas por el suelo; leishmaniasis; lepra; micetoma, la cromoblastomicosis y otras micosis profundas; mordeduras de serpientes venenosas; pian; oncocercosis (ceguera de los ríos); rabia; teniasis y cisticercosis; tracoma; úlcera de Buruli.

POBLACIONES DESATENDIDAS AL MARGEN DE LA INNOVACIÓN

Cuando la inversión en innovación para enfermedades que representan un mercado para el sector farmacéutico resulta en tratamientos eficaces, no siempre estos son accesibles a todos quienes los necesitan. Ya sea por los precios exorbitantes derivados de situaciones de monopolio, o por la falta de inversión en fórmulas que atiendan las necesidades de grupos minoritarios, un número incalculable de personas sigue excluido de los avances de la ciencia. Este es el caso, por ejemplo, de las personas infectadas por el virus de la hepatitis C y de los niños que viven con el VIH. Aunque no sean afectadas por las llamadas enfermedades desatendidas, estas son, por su condición de exclusión, poblaciones desatendidas.

BACTERIAS CADA VEZ MÁS RESISTENTES A LOS ANTIBIÓTICOS

El uso indebido de antibióticos y la falta de investigación de nuevos medicamentos para infecciones bacterianas han creado un fenómeno mundial de aumento de la resistencia antimicrobiana. Con ello, las infecciones comunes y los procedimientos médicos simples pueden ofrecer un riesgo grave en un futuro no tan distante. Para evitar una catástrofe en este campo, es necesario un nuevo mecanismo de búsqueda.

Este panorama generalizado de negligencia, provocado por una falla sistémica en la lógica de innovación y acceso a la salud, especialmente presente en América Latina, fue lo que resultó en la creación de una *iniciativa* orientada a las necesidades de las personas afectadas, que busca el desarrollo de nuevos tratamientos y garantizar el acceso a herramientas de salud para estas enfermedades y poblaciones desatendidas.



DNDi:

UN MODELO COLABORATIVO EN FAVOR DE PACIENTES DESATENDIDOS

Fundada en 2003, la DNDi surgió para llenar un gran vacío en la salud pública global, que salió a la luz de forma contundente a finales de los años 1990. En ese momento, las discusiones en el marco de la Organización Mundial de la Salud alertaron sobre el desequilibrio entre las necesidades de innovación para combatir enfermedades predominantes en los países en desarrollo y la escasez de investigación y desarrollo para estas enfermedades. Para revertir este desequilibrio fatal era necesario reconciliar la innovación y el acceso a un modelo alternativo que respondiera a las necesidades de salud de esas poblaciones desatendidas.

Organizaciones humanitarias internacionales, como Médicos Sin Fronteras, buscaron dar visibilidad al impacto humano de ese panorama de salud pública global. En 1999, Médicos Sin Fronteras destinó los recursos que recibió por el premio Nobel de la Paz de aquel año para realizar un estudio que propuso estrategias innovadoras con el fin de garantizar el desarrollo de medicamentos nuevos y accesibles para las enfermedades desatendidas.

Como resultado, fue propuesta la creación de **un modelo colaborativo sin fines de lucro para la investigación y el desarrollo de nuevos medicamentos para estas enfermedades en forma de alianzas entre instituciones públicas y privadas, basado en la desvinculación del costo de investigación del precio final del tratamiento.**

Para implementar este modelo, capaz de incluir las enfermedades desatendidas en el mapa de la innovación y responder a una demanda mundial de salud pública, se creó la *Iniciativa* Medicamentos para Enfermedades Olvidadas (DNDi). Con el paso de los años, la misión de la DNDi ha evolucionado para englobar también a pacientes desatendidos de otras enfermedades, tales como niños con VIH o personas que sufren de hepatitis C.

Con sede en Ginebra, la DNDi tiene actualmente oficinas regionales en Brasil, Estados Unidos, India, Japón, Kenia, Malasia, República Democrática del Congo y Sudáfrica.

OBJETIVOS QUE ORIENTAN EL TRABAJO DE LA DNDi

- Ofrecer de 16 a 18 nuevos tratamientos hasta 2023
- Influir en el panorama de investigación y desarrollo para las enfermedades desatendidas
- Desarrollar tratamientos para enfermedades y poblaciones desatendidas
- Fortalecer la capacidad técnica en investigación en los países afectados por las enfermedades olvidadas

RESULTADOS ALCANZADOS

- Dos nuevas combinaciones de dosis fija para la malaria (2007 y 2008) - ASAQ, ASMQ, una en América Latina, desarrollada en asociación con el laboratorio de Fiocruz, Farmanguinhos
- Tratamiento mejorado y más sencillo para la enfermedad del sueño (2009) - NECT
- Tratamiento más barato y más eficaz contra la leishmaniasis visceral en África (2010) - SSG & PM
- Conjunto de tratamientos para la leishmaniasis visceral en el sur de Asia (2011)
- Fórmula pediátrica de benznidazol para la enfermedad de Chagas, con dos fuentes de producción: una registrada en 2011, en asociación con el laboratorio público Lafepe, en Brasil; y otra registrada en 2018, en asociación con el laboratorio Elea Phoenix, en Argentina
- Tratamiento más efectivo para niños coinfectados con VIH y tuberculosis (2016)

MIEMBROS FUNDADORES DE LA DNDi

Consejo Indio de Investigación Médica; Fundación Oswaldo Cruz; Instituto de Investigación Médica de Kenia; Instituto Pasteur de París; Médicos Sin Fronteras; Ministerio de Salud de Malasia; Programa Especial para Investigación y Capacitación en Enfermedades Tropicales (TDR/OMS), como observador permanente.

DNDi EN AMÉRICA LATINA:

ASOCIACIONES PARA TRANSFORMAR
EL PANORAMA DE SALUD PÚBLICA
PARA POBLACIONES DESATENDIDAS

En una región donde las enfermedades desatendidas afectan a 70 millones de personas, las soluciones de salud pública deben ser construidas en red. La DNDi América Latina trabaja en colaboración con la comunidad científica, el sector público, la industria biofarmacéutica, la sociedad civil y las asociaciones de pacientes para buscar cambios sostenibles.

Las actividades de la DNDi en la región se concentran en identificar las necesidades de salud no atendidas, desarrollar nuevos medicamentos para las enfermedades presentes en la región, actuar con gobiernos en propuestas para garantizar que los pacientes tengan acceso a los medicamentos, fortalecer las capacidades locales de investigación y actuar junto a los países para garantizar políticas de incentivo a la innovación y al acceso a la salud. Este trabajo trasciende la investigación para nuevos medicamentos y se basa en un modelo de colaboración para garantizar que los medicamentos estén disponibles en el mercado y que lleguen a las personas que más los necesitan.



DEL LABORATORIO A LAS MANOS DEL PACIENTE

La meta de la DNDi es desarrollar tratamientos simples, seguros, eficaces y adaptados a los sistemas de salud de los países donde residen los pacientes.

A corto plazo, el camino es perfeccionar opciones terapéuticas ya existentes para atender las necesidades urgentes de los pacientes.

A largo plazo, la estrategia es invertir en actividades de descubrimiento de nuevos medicamentos para ofrecer tratamientos completamente innovadores, más adecuados y con potencial de cambiar el curso de las enfermedades.

Fuente: Solomon N, Ridley RG. Virtual drug discovery and development for neglected diseases through public-private partnerships. Nat Rev Drug Discov. 2003;2:919-28.



INVESTIGACIÓN

3 a 6 años

• IDENTIFICACIÓN

El proceso comienza con investigadores que prueban cientos de miles de moléculas en laboratorio, generalmente provenientes de bibliotecas de compuestos comerciales y disponibles por medio de alianzas con industrias farmacéuticas.



Tasa de éxito del 30%

• CONFIRMACIÓN

El objetivo es confirmar la actividad de un número reducido de los mejores compuestos contra los parásitos o virus causantes de las enfermedades con las que la DNDi trabaja.



Tasa de éxito del 65%

• OPTIMIZACIÓN

Esta nueva serie química pasa, entonces, por diversas etapas de optimización – o mejora –, hasta que se obtengan las características necesarias para un potencial medicamento.



Tasa de éxito del 55%



INVESTIGACIÓN TRANSLACIONAL

1 a 2 años

• PRECLÍNICA

Finalmente, es analizada en un ambiente de laboratorio controlado (*in vitro*) y en un organismo o tejido vivo (*in vivo*), antes de ser analizada en seres humanos.



Tasa de éxito del 70%

• FASE I

La siguiente etapa es la prueba en personas, sanas y voluntarias, que busca establecer los niveles de seguridad de la sustancia – para que no produzca daño – en un ser humano.



Tasa de éxito del 70%

• FASE II

Los propios pacientes son tratados con los medicamentos en estudios clínicos realizados en localidades donde las enfermedades son endémicas. Se valoran la eficacia, la dosis ideal, la frecuencia y la vía de administración.



Tasa de éxito del 50%

• FASE III

Si los resultados demuestran que el medicamento es seguro y eficaz, nuevos ensayos, con mayor número de personas, pueden realizarse con el objetivo de confirmar la eficacia e identificar posibles efectos adversos no detectados antes.



Tasa de éxito del 65%

• REGISTRO

El medicamento es fabricado por socios industriales con los que la DNDi negocia una licencia no exclusiva a un precio adecuado para los gobiernos y los pacientes. Finalmente, el registro se envía para aprobación de las autoridades sanitarias de los países donde el medicamento será entregado.



Tasa de éxito del 95%



DESARROLLO

3 a 6 años



IMPLEMENTACIÓN

• ACCESO

La disponibilidad de un nuevo medicamento, sin embargo, no garantiza que este sea adoptado por los Ministerios de Salud de los países endémicos o que estará disponible para aquellos que lo necesiten. En el caso de la enfermedad de Chagas, por ejemplo, la DNDi América Latina pasó a trabajar en colaboración con los Ministerios de Salud y otros socios de la región para identificar y superar las barreras existentes para el diagnóstico y tratamiento. De este modo, busca asegurar que, cuando existan tratamientos mejores disponibles, estos lleguen a manos del paciente.



“Es importante seguir el tratamiento, para mejorar la salud, tener una vida normal.”

ENFERMEDAD DE CHAGAS

ASEGURAR INNOVACIÓN Y ACCESO A LOS PACIENTES EN PRIMER LUGAR

Yolendi Riaño tiene 29 años, es ama de casa, y madre de 5 hijos. Vive en la zona rural del departamento de Nunchía, en Colombia. Hace dos años se enteró que tenía Chagas, cuando estaba embarazada de su quinto hijo, y desde su nacimiento, siente ahogo en el pecho a cada rato. No sabe cuándo se infectó, pero dice que hay muchas vinchucas o pitos en la casa, y dos de sus hijas también han tenido la infección pero hicieron el tratamiento y se encuentran bien. Yolendi y su familia están preocupadas por su situación, pero se debe esperar a que deje de amamantar al bebé para empezar el tratamiento.

La historia de Yolendi es, en muchos aspectos, una situación recurrente al hablar de la enfermedad de Chagas. Asintomática en su fase crónica, la enfermedad evoluciona silenciosamente, pudiendo generar daños graves a órganos como el corazón. Los dos tratamientos disponibles hoy, descubiertos en la década de 1960, se administran durante 60 días, pueden causar serios efectos secundarios y no son adecuados para las mujeres embarazadas. Como la mayoría de las personas con Chagas ni siquiera sabe que está infectada, solo 1 de cada 100 recibe tratamiento específico para la enfermedad. Para cambiar este panorama, que afecta a 7 millones de personas en el mundo, son necesarios importantes avances.

La DNDi trabaja en asociación con organizaciones de la región para ampliar el acceso a los tratamientos antes de que aparezcan complicaciones de salud, desarrollar medicamentos más eficaces para la fase crónica de la enfermedad y buscar tratamientos más seguros para el gran número de pacientes con reacciones adversas.

EL PROGRAMA DE LA DNDi PARA CHAGAS

Para enfrentar los desafíos de la enfermedad de Chagas en el continente, la DNDi y sus socios actúan en tres frentes:

El programa de investigación y desarrollo investiga un nuevo régimen de tratamiento, más seguro y tolerable, con dosis más bajas de los medicamentos ya existentes, y/o un tratamiento con una duración más corta. Otra línea de investigación busca una combinación entre el tratamiento ya existente y un nuevo medicamento. Al mismo tiempo, la DNDi busca herramientas que permitan determinar mejor los indicadores de curación, ya que un vacío importante es la falta de un análisis que compruebe con exactitud si el paciente está curado y libre de la enfermedad.

El programa de eliminación de barreras, en marcha en Colombia, Guatemala y Brasil, es un proyecto innovador de la DNDi América Latina que complementa el trabajo de investigación y desarrollo.

El objetivo es ampliar el número de personas diagnosticadas y tratadas con los medicamentos existentes, aplicando un modelo centrado en los pacientes y con atención integral. Por medio de alianzas con actores locales y bajo el liderazgo del Ministerio de Salud, el programa garantiza que las transformaciones alcanzadas tengan carácter permanente y que, cuando haya nuevos medicamentos disponibles, estos lleguen a quienes más los necesitan.

La DNDi también coordina la Plataforma de Investigación Clínica en Enfermedad de Chagas, una red de investigadores que colaboran para superar los desafíos de investigación y desarrollo para la enfermedad de Chagas.

ENTIENDA MEJOR LA ENFERMEDAD DE CHAGAS

La enfermedad de Chagas comienza con una fase inicial aguda, de aproximadamente dos meses de duración, en la que puede haber fiebre prolongada y edema facial, entre otros síntomas. Muchas veces, sin embargo, no se presenta ningún síntoma. La fase crónica es tardía, y dura toda la vida. Hasta un tercio de los pacientes sufre daños al corazón, con riesgo de vida, y hasta 1 de cada 10 personas presenta comprometimiento del sistema digestivo.

Causada por el *Trypanosoma cruzi*, la transmisión de la enfermedad puede ocurrir de cuatro maneras principales: por la picadura del insecto triatmino (vinchuca), cuando las heces del vector infectadas con el parásito son absorbidas; por transfusión de sangre no controlada de

donantes infectados; de una madre infectada al hijo durante la gestación o el parto; o por la ingestión de alimentos contaminados con el parásito, esta última con elevada tasa de mortalidad en la fase inicial aguda.

Endémica en 21 países de América Latina, la enfermedad está directamente relacionada con las condiciones socioeconómicas de las poblaciones afectadas. La vinchuca o pito, transmisor principal, vive sobre todo en áreas rurales, donde las condiciones de vivienda — casa con paredes de barro y tapias— crean un ambiente propicio para su proliferación. Sin embargo, debido a los movimientos poblacionales, la enfermedad hoy también se encuentra en áreas urbanas y en otras regiones.



"Las personas tienen que dejar de trabajar para poder cuidarse."

LEISHMANIASIS

UN LLAMADO URGENTE POR
TRATAMIENTOS SEGUROS,
EFICACES Y DE FÁCIL USO

Ana Marilús y sus hijos Ivana y Rodrigo, de cinco y dos años respectivamente, fueron diagnosticados con leishmaniasis cutánea. Después de los análisis empezaron a colocar las inyecciones que son muy dolorosas. El niño no aguanta mucho y llora, pero la niña es más valiente. Marilús tiene que viajar 12 horas para poder ser atendida en el hospital y hospedarse en la casa de parientes porque la distancia y el precio del pasaje no le permiten ir y volver todos los días.

El sufrimiento de Ana Marilús no está aislado. Como ella, otros pacientes sienten los graves efectos colaterales de los medicamentos, además de tolerar esquemas de tratamiento que requieren hospitalización o dolorosas inyecciones por 20 a 30 días. La enfermedad también genera efectos devastadores en las comunidades, incluyendo dificultades de trabajo, pérdidas económicas y estigma social en poblaciones que ya viven con recursos limitados.

Casi 1 mil millones de personas en todo el mundo están en riesgo de contraer la enfermedad según la Organización Mundial de la Salud. Se estima que cada año entre 50.000 y 90.000 personas son infectadas por la leishmaniasis visceral, la forma letal de la enfermedad, más del 90% en Brasil, Etiopía, India, Kenia, Somalia, Sudán y Sudán del Sur; y entre 600.000 y 1 millón de personas son infectadas por la leishmaniasis cutánea por año, el 70% en Afganistán, Argelia, Brasil, Colombia, Irán y Siria. Es endémica en 18 países de América Latina, con cerca de 55 mil nuevos casos al año.

EL PROGRAMA DE LA DNDi PARA LAS LEISHMANIASIS

La estrategia de la DNDi para las leishmaniasis visceral y cutánea es mejorar las opciones de tratamiento existentes y buscar un nuevo tratamiento oral, seguro, eficaz, de bajo costo y de corta duración, además de fomentar un mejor entendimiento sobre la enfermedad.

Para la leishmaniasis visceral, la DNDi y sus socios realizaron un estudio clínico en Brasil que apuntó a un cambio en las recomendaciones de tratamiento del Ministerio de la Salud, lo que significa un tratamiento más seguro y con menos efectos adversos para los pacientes. Actualmente, la DNDi y las instituciones asociadas en Brasil están implementando un estudio de laboratorio para mejorar el conocimiento sobre el parásito y sus mecanismos de resistencia a la miltefosina, único tratamiento oral existente para la enfermedad. También se está realizando un estudio retrospectivo, con recolección de datos clínicos de pacientes con leishmaniasis y VIH en historiales médicos para mejorar el tratamiento de estos pacientes y planear futuros ensayos clínicos.

Para las leishmaniasis cutánea y mucosa, la DNDi coordina un estudio en Perú y Colombia para evaluar la eficacia y la seguridad de una combinación de termoterapia con un esquema más corto de miltefosina. En Brasil, colabora en un estudio que busca evaluar la eficacia y la seguridad de otro medicamento, la anfotericina B liposomal, y la miltefosina para combatir la leishmaniasis mucosa. Paralelamente, la DNDi apoya la lucha de los pacientes en la formación de la primera asociación brasileña de portadores de leishmaniasis.

La DNDi también coordina la redLEISH, una red de investigadores y colaboradores que fortalece la investigación clínica en leishmaniasis cutánea.

ENTIENDA MEJOR LAS LEISHMANIASIS

Las leishmaniasis son causadas por varias especies de parásitos y transmitidas por la picadura de insectos, en especial el flebótomo. Se presentan de tres formas principales:

Leishmaniasis visceral: también conocida como kala-azar, se caracteriza por fiebre prolongada, aumento del bazo e hígado, pérdida de peso y anemia y es mortal sin tratamiento. En las Américas, se registran anualmente alrededor de 3.500 nuevos casos, el 95% de ellos en Brasil. La coinfección con el VIH presenta mayor letalidad y es una preocupación creciente.

Leishmaniasis cutánea: en su forma más común, causa lesiones únicas o múltiples en forma de úlceras en la piel, pero también puede presentar lesiones en nódulos o verrugas, u otras formas más raras, con numerosas lesiones o cubriendo grandes extensiones del cuerpo. Aunque no sea fatal, puede causar discapacidad y generar deformidades o cicatrices que causan estigma social.

Leishmaniasis mucosa: compromete el tejido mucoso de la nariz, boca y garganta, provocando su destrucción y causando discapacidad. Son cerca de 2 mil casos al año, el 85% en Brasil, Perú y Bolivia.



"Queremos genéricos para la hepatitis C, la salud no es una mercancía."

HEPATITIS C

UN ENFOQUE DE SALUD PÚBLICA
PARA GARANTIZAR EL ACCESO
A LOS MEDICAMENTOS

Bartolomeu Luiz de Aquino ha vivido con la infección por hepatitis C desde 2005. Se curó solamente en 2017, después de recibir cuatro tratamientos distintos, gracias a la combinación de sofosbuvir y daclatasvir. En su lucha por tratamientos para los afectados por la enfermedad, fundó el Movimiento Brasileño para la Lucha contra la Hepatitis Viral, del cual es vicepresidente.

Según datos de la Organización Mundial de la Salud (OMS), en 2015 había 71 millones de personas con hepatitis C en el mundo, de las cuales cerca del 75% fueron identificadas en 2016 como habitantes de países de medianos y bajos ingresos, y sólo el 13% tuvieron acceso al tratamiento. La meta de la OMS es tratar al 80% de las personas con hepatitis C hasta 2030. Dado el escenario actual del acceso a los medicamentos, esta meta parece ser lejana.

En América Latina se estima que 3,8 millones de personas conviven con el virus de la hepatitis C. No hace mucho, el tratamiento duraba 48 semanas, con un medicamento inyectable semanal, que desencadenaba reacciones severas y dolorosas. El actual tratamiento para la hepatitis C se basa en combinaciones de medicamentos que actúan directamente sobre el virus y son altamente eficaces. Las tasas de curación, después de un curso de tratamiento oral con duración de 8, 12 o 24 semanas, superan el 95%.

Los precios exorbitantes del sofosbuvir y sus combinaciones (US\$ 4.500, precio de la Organización Panamericana de la Salud [OPAS] en 2018), resultante de su situación de casi monopolio —que impone barreras a los genéricos—, limita las políticas de salud pública, como el diagnóstico y el tratamiento de todos los pacientes que los necesitan. La mayoría de los gobiernos, por ejemplo, restringe el tratamiento a aquellas personas en estado más avanzado de la enfermedad. Como resultado, cada año se infectan más personas que el número de pacientes que reciben tratamiento, lo que ubica a la lucha contra la enfermedad en el camino inverso al de su eliminación.

EL PROGRAMA DE LA DNDi PARA LA HEPATITIS C

Para lograr una estrategia capaz de eliminar la enfermedad hacen falta tratamientos adecuados para un enfoque de salud pública: fáciles de aplicar, a precios asequibles y eficaces contra los diferentes genotipos del virus (pangenotípico). Por eso, la estrategia de la DNDi se basa en tres pilares fundamentales, que incluyen esfuerzos por la investigación y el desarrollo, iniciativas para simplificar los modelos de cuidado a los pacientes y garantizar que los países tengan acceso a los medicamentos a precios apropiados.

El primer paso de la estrategia de la investigación y el desarrollo fue un análisis de los compuestos ya en fase de desarrollo. Así se identificó el ravidasvir, de la farmacéutica egipcia Pharco, con la cual la DNDi se asoció para desarrollar un tratamiento pangenotípico, sencillo y asequible. En estudios clínicos, la combinación de sofosbuvir con ravidasvir presentó una eficacia comprobada, incluso para los genotipos más prevalentes en América Latina, y demostró una tasa de curación comparable a los mejores tratamientos disponibles, pero con un costo menor. Un tratamiento pangenotípico eliminaría la necesidad de pruebas de genotipos, permitiendo un modelo simplificado y asequible, esencial para la expansión de los programas nacionales de combate a la enfermedad.

Para garantizar la disponibilidad del ravidasvir a precios asequibles, la DNDi se asoció de forma no exclusiva en la región con los laboratorios ELEA Phoenix e Insud Pharma, de Argentina, para registrar, producir y distribuir el medicamento, inicialmente en ese país y potencialmente en otros países de América Latina, con el precio objetivo de US\$ 500 por tratamiento. Como la hepatitis C se puede curar, diagnosticar y tratar a las personas infectadas en etapas tempranas puede garantizar la eliminación de la enfermedad y el éxito de la meta de la OMS. Para ello, donde las barreras de las patentes y los precios exorbitantes impiden el acceso al medicamento, los gobiernos deben tomar medidas para proteger la salud de su población, haciendo uso, incluso, de flexibilidades permitidas de acuerdo con la legislación internacional, como la oposición a las solicitudes de patente o la expedición de licencias obligatorias.

ENTIENDA MEJOR LA HEPATITIS C

El virus de la hepatitis C es transmitido principalmente por la exposición a la sangre contaminada, generalmente por jeringas, contacto sexual o equipos médicos con esterilización inapropiada. Si no se trata puede conducir a una enfermedad hepática crónica y debilitante, incluyendo cirrosis, fibrosis y cáncer, así como a otros problemas de salud.

La gran mayoría de los infectados no tiene conocimiento de su estado y son asintomáticos. Hay seis distintos genotipos de la enfermedad, y cada región tiene su propia distribución de genotipos, lo que representa un gran reto, puesto que los medicamentos apropiados pueden diferir de acuerdo con el genotipo.

RESISTENCIA A LOS ANTIBIÓTICOS

CONSIDERANDO LAS NECESIDADES URGENTES DE SALUD GLOBAL

Las infecciones resistentes a los antibióticos están superando el descubrimiento de nuevos medicamentos a un ritmo alarmante. El uso excesivo e indebido de antibióticos, incluso en animales, junto con la falta de prevención y control de infecciones, además de escasas inversiones en el desarrollo de nuevos tratamientos, ha generado un aumento preocupante en los casos de bacterias resistentes a los medicamentos.

En búsqueda de atender las preocupaciones de los países y percibiendo el agravamiento en la resistencia a los antibióticos, la Organización Mundial de la Salud, en conjunto con la DNDi, lanzó la Asociación Global de Investigación y Desarrollo de Antibióticos (GARDP). El objetivo de la Asociación es desarrollar nuevos antibióticos y tratamientos para la resistencia antimicrobiana y promover su uso racional, garantizando al mismo tiempo acceso equitativo a todos los que lo necesitan.

La GARDP está en fase de incubación en la DNDi, aprovechando su experiencia como modelo alternativo de desarrollo de medicamentos para las enfermedades desatendidas.

LOS PROGRAMAS DE LA ASOCIACIÓN GLOBAL PARA LA INVESTIGACIÓN Y DESARROLLO DE ANTIBIÓTICOS (GARDP)

La GARDP guía su trabajo priorizando necesidades que se encuadren en al menos dos de tres criterios: infecciones que afectan a poblaciones desatendidas, enfermedades consideradas prioritarias y agentes patógenos de la lista prioritaria de la Organización Mundial de la Salud. Respondiendo a las necesidades más urgentes, el trabajo de la GARDP en América Latina se concentra en dos áreas:

Infecciones de transmisión sexual: La gonorrea es una de las infecciones sexualmente transmisibles más comunes del mundo, con más de 78 millones de nuevos casos anualmente. La infección puede generar diversas manifestaciones y complicaciones, como aumento del riesgo de infección por VIH, enfermedad inflamatoria pélvica, embarazo fuera del útero e infertilidad, y puede incluso causar complicaciones en los recién nacidos.

El programa busca desarrollar un nuevo tratamiento para la gonorrea y explorar otros medicamentos para el tratamiento de enfermedades sexualmente transmisibles por medio de asociaciones entre instituciones privadas y académicas.

Sepsis neonatal: Una seria amenaza a la vida de recién nacidos de hasta 1 mes de vida, la sepsis neonatal es una condición resultante de infecciones del flujo sanguíneo, como meningitis y pulmonía, comúnmente adquiridas en ambientes hospitalarios. Se estima que, por año, más de 214 mil bebés recién nacidos de todo el mundo han fallecido por infecciones hospitalarias resistentes a antibióticos.

La Asociación Global busca desarrollar tratamientos para infecciones altamente resistentes a medicamentos por medio de una red mundial de centros especializados para realizar estudios preclínicos y clínicos.

OPTIMIZACIÓN DE COMPUESTOS

LA BÚSQUEDA DE TRATAMIENTOS PIONEROS A PARTIR DE NUEVAS MOLÉCULAS

Los medicamentos actualmente disponibles para las enfermedades desatendidas, como las leishmaniasis y la enfermedad de Chagas, presentan severas limitaciones. Muchos son tóxicos, difíciles de administrar, poco eficaces o económicamente inaccesibles. La DNDi emplea diferentes estrategias para atender la demanda de los pacientes por nuevos tratamientos que sean eficaces, seguros y accesibles.

Actuando a través de redes de colaboración globales, la organización está involucrada en todas las fases del proceso de investigación y desarrollo de medicamentos: desde el descubrimiento de nuevas moléculas e investigación preclínica hasta ensayos clínicos en personas voluntarias y estudios de implementación y acceso a medicamentos a gran escala.

En América Latina, la DNDi lleva a cabo actividades de descubrimiento de nuevas moléculas a través del programa llamado "Optimización de Compuestos Líderes de América Latina" (o LOLA, por su sigla en inglés de Lead Optimization Latin America). Este consorcio estimula la innovación, promueve la formación de competencias locales y refuerza y valoriza la investigación en áreas endémicas. El programa fue lanzado en 2013 y tiene como objetivo principal identificar tratamientos innovadores para la enfermedad de Chagas y las leishmaniasis. Hoy, el consorcio cuenta con un equipo multidisciplinario y trasciende fronteras, con socios en América Latina y por el mundo, colaborando con grupos de investigación en las universidades y en la industria farmacéutica.

En esa red, que sigue preceptos de innovación abierta, los compuestos son inicialmente sintetizados y probados contra los parásitos y luego mejorados por medio de repetidos ciclos de química medicinal. Más de 600 compuestos ya han sido sintetizados y evaluados localmente. El equipo del proyecto espera pronto poder identificar un potencial medicamento con características aceptables que pueda avanzar en los estudios que la DNDi desarrolla.



PLATAFORMAS DE ACTUACIÓN EN RED:

FORTALECIENDO LA CAPACIDAD DE INVESTIGACIÓN EN AMÉRICA LATINA PARA CHAGAS Y LEISHMANIASIS

Desde su creación en 2003, la DNDi trabaja para combinar el desarrollo de nuevos medicamentos con el fortalecimiento de capacidades de investigación en los países más afectados por las enfermedades desatendidas. El modelo colaborativo de la DNDi se basa en la premisa de que las soluciones deben ser construidas en red y, preferentemente, a partir de colaboraciones en las propias regiones afectadas para que estas lideren la agenda política y científica, buscando soluciones de salud pública. Por medio de plataformas regionales de investigación, la DNDi ha facilitado la colaboración entre investigadores, organizaciones y otros socios regionales para fortalecer las

PLATAFORMA DE INVESTIGACIÓN CLÍNICA EN ENFERMEDAD DE CHAGAS

La Plataforma de Investigación Clínica en Enfermedad de Chagas fue creada en 2009 y reúne a representantes de más de 150 instituciones de 24 países. Desde su creación, la Plataforma Chagas tiene un papel central en la facilitación de procesos que impactan a la comunidad científica. En 2010, en el marco de la Plataforma se definieron las características de la mejor opción de medicamento para Chagas; estas características se revisan periódicamente y representan el producto ideal en todos los estudios para nuevos tratamientos. Por otra parte, en la Plataforma se definieron la estandarización y la optimización del procedimiento de diagnóstico y de la conducción de estudios para la evaluación del efecto del tratamiento de la enfermedad de Chagas. Desde descubrir hasta implementar medicamentos, la Plataforma sigue promoviendo el perfeccionamiento de la investigación para la enfermedad de Chagas.



capacidades y definir conjuntamente los aspectos técnicos y científicos que deberán orientar la investigación e innovación en medicamentos para las enfermedades desatendidas.

Las plataformas reúnen a investigadores, especialistas, médicos y profesionales de la salud, empresas farmacéuticas, representantes de Ministerios de Salud, programas nacionales de control, representantes de organizaciones intergubernamentales y grupos de la sociedad civil para compartir conocimientos sobre la enfermedad. De esta forma, es posible establecer consenso sobre las prioridades de investigación, además

de objetivos y criterios comunes a utilizar en los estudios de la enfermedad en la región. Esto permite a los grupos intentar ejercer influencia sobre la comunidad científica y sobre la agenda de políticas públicas de la región y de los países afectados para atender a las necesidades de los pacientes desatendidos.

Esa es una parte fundamental del trabajo desarrollado por la DNDi en América Latina y se traduce en la coordinación de dos redes de investigación sobre enfermedades presentes en la región: Chagas y leishmaniasis.

RED DE INVESTIGADORES Y COLABORADORES EN LEISHMANIASIS



Creada en 2014, la redLEISH cuenta con representantes de más de 50 instituciones de 16 países. Desde su creación, colabora con el Programa Especial para la Investigación y Capacitación en Enfermedades Tropicales de la Organización Mundial de la Salud para la armonización de criterios para la conducción de estudios clínicos en leishmaniasis cutánea, contribuyendo a la generación de evidencias científicas. En 2017, la redLEISH publicó un manifiesto llamando a la atención de investigadores y autoridades nacionales sobre la necesidad de más inversiones en investigación para la leishmaniasis mucosa, forma más desatendida de la enfermedad, que puede llevar a la desfiguración o muerte. La priorización de la leishmaniasis mucosa en la Red estimuló la organización de un estudio para mejorar los tratamientos existentes. Este estudio, iniciado en 2018, es coordinado por Fiocruz en conjunto con la DNDi y otras instituciones de la Red, la cual sigue fortaleciéndose como espacio de colaboración para la investigación.





DIVERSIFICANDO LAS FUENTES DE FINANCIAMIENTO PARA GARANTIZAR LOS MEJORES RESULTADOS PARA MILLONES DE PACIENTES DESATENDIDOS

Para alcanzar su objetivo de poner a disposición entre 16 y 18 nuevos tratamientos hasta 2023, la DNDi ya recaudó aproximadamente 490 millones de euros de un presupuesto total de 650 millones. Desde el lanzamiento de la GARDP en 2016, ya se han recaudado 64 millones de euros como parte de su objetivo de 279 millones hasta 2023. Juntos, la DNDi y la GARDP ya recaudaron 553 millones de euros de un presupuesto acumulado de 920 millones hasta 2023 de una red creciente de financiadores de varias partes del mundo.

La DNDi América Latina participa de esta meta global, buscando expandir y diversificar las fuentes de financiamiento público y privado en la región, incluyendo contribuciones de gobiernos, instituciones públicas, grandes donadores privados, fundaciones privadas, socios fundadores y mecanismos de financiamiento innovadores. Mantener una financiación equilibrada y diversificada es esencial para que la DNDi pueda actuar de forma independiente, orientada a las necesidades de los pacientes, y permanecer enfocada en su misión. Por esta razón, la DNDi

busca mantener un equilibrio entre financiamientos públicos y privados y establece que ningún único contribuyente puede aportar más del 25% de la financiación total.

Tanto el financiamiento irrestricto como las donaciones dirigidas a los programas de investigación y desarrollo para enfermedades específicas son de gran importancia, pues permiten la flexibilidad necesaria para que la organización pueda reaccionar rápidamente a las oportunidades.

En este escenario, los países de la región desempeñan un papel fundamental, pues su financiamiento representa el compromiso político de contribuir a la lucha contra enfermedades que afectan a sus poblaciones. Del mismo modo, el apoyo de los donadores privados es muy importante para promover la innovación y comprobar la viabilidad y la implementación de nuevas soluciones. Paralelamente, la DNDi América Latina busca profundizar una discusión en la región sobre la necesidad de incentivos coordinados al financiamiento para investigación y desarrollo para enfermedades desatendidas.

PARA ALCANZAR SUS OBJETIVOS HASTA 2023, EL PRESUPUESTO GLOBAL DE LA DNDi FUE ESTIMADO EN € 650M

CÓMO SE ASIGNAN LOS RECURSOS GLOBALES DE LA DNDi



Datos referentes a 2017

La asignación de los recursos recaudados por la DNDi sigue principios fundamentales de transparencia, como la publicación de datos financieros y la realización de una auditoría externa anual. Además, del total de recursos utilizados globalmente, la organización busca asignar al menos el 80% a la misión social —actividades de investigación y desarrollo, proyectos de acceso a medicamentos, fortalecimiento de capacidades y trabajo de incidencia política—, mientras que el restante 20% es invertido en administración general y búsqueda de nuevos financiadores.

Además de recursos financieros, la organización también contabiliza donaciones en bienes y servicios, como el acceso a bibliotecas de compuestos y moléculas de la industria farmacéutica.

INSTITUCIONES QUE APOYAN FINANCIERAMENTE EL TRABAJO DE LA DNDi EN LA REGIÓN

BRASIL: Asociación Bem-Te-Vi Diversidade • Banco Nacional de Desenvolvimento Econômico e Social (BNDES) • Financiadora de Estudos e Projetos, Premio Finep de Innovación en la categoría de Tecnología Social - Regional y Nacional • Fundación Oswaldo Cruz (Fiocruz) • Médicos Sin Fronteras (MSF) • Secretaría de Ciencia, Tecnología e Insumos Estratégicos del Ministerio de Salud de Brasil (SCTIE/MS)

CANADÁ: International Development Research Centre (IDRC)

COLOMBIA: Ruta N (Medellín)

MÉXICO: Fundación Carlos Slim, Premio Carlos Slim en Salud a la Institución Excepcional

La DNDi agradece a todos sus donantes y colaboradores en la región y en el mundo por su compromiso y apoyo desde 2003, que le ha posibilitado avanzar en el cumplimiento de su misión y objetivos. Para información sobre cómo apoyar, póngase en contacto con colabore@dndi.org



Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Enfermedades Olvidadas

La *Iniciativa* Medicamentos para Enfermedades Olvidadas (DNDi, por su sigla en inglés de Drugs for Neglected Diseases *initiative*) es una organización global de investigación y desarrollo sin fines de lucro. En colaboración con socios públicos y privados, la DNDi trabaja para proporcionar tratamientos seguros, eficaces y accesibles a las poblaciones que el actual sistema de innovación en salud no tiene en cuenta. Actualmente, la organización se concentra en el desarrollo de nuevos tratamientos para personas afectadas por la enfermedad de Chagas, leishmaniasis, filariasis, micetoma, enfermedad del sueño y hepatitis C, y para niños que viven con VIH.

En 2016, en colaboración con la Organización Mundial de la Salud, la DNDi lanzó la Asociación Global de Investigación y Desarrollo de Antibióticos (GARDP, por su sigla en inglés de Global Antibiotic Research and Development Partnership), cuyo objetivo es desarrollar y ofrecer nuevos tratamientos para infecciones bacterianas, concentrándose en los casos en que exista resistencia a medicamentos o en que los tratamientos existentes son inadecuados, y garantizando el acceso sostenible. La GARDP funciona en un modelo de incubadora de la DNDi.

DNDi AMÉRICA LATINA

Rua São Jose, 70 – Sala 601

20010-020

Centro – Rio de Janeiro

Brasil

Tel: +55 21 2529 0400

www.dndial.org

DNDi Sede Ginebra

15 Chemin Louis-Dunant

1202 Geneva

Switzerland

Tel: + 41 22 906 9230

Email: dndi@dndi.org



facebook.com/dndi.org



linkedin.com/company/dndi



twitter.com/dndi



youtube.com/dndiconnect



instagram.com/drugsforneglecteddiseases



Suscríbese al newsletter de DNDi: www.dndi.org/newsletter