

PLANO DE NEGÓCIOS

2015-2023



Uma abordagem dinâmica
para atender às necessidades
dos pacientes negligenciados

DNDi

Drugs for Neglected Diseases *initiative*

Iniciativa Medicamentos para Doenças Negligenciadas

O cenário de P&D para pacientes mas muitas lacunas permanecem

➔ Revisão do Plano de Negócios para garantir impacto positivo para os pacientes

A cada quatro ou cinco anos, a DNDi revisa e atualiza seu Plano de Negócios para garantir que a organização esteja sintonizada com as necessidades existentes e emergentes dos pacientes.

Desde sua criação, a DNDi defende uma estrutura sustentável liderada pelo poder público e voltada para P&D (pesquisa e desenvolvimento) essencial em saúde. Em 2010, foi feita uma análise do Plano de Negócios para o período de 2011 a 2018, quando duas novas áreas de doenças foram acrescentadas ao portfólio da DNDi (filariose e HIV pediátrico), e renovou-se o compromisso com as atividades voltadas para as doenças centrais do portfólio (doença do sono, leishmaniose e doença de Chagas).

Foi elaborado um plano para concluir e transferir as atividades relacionadas à malária para parceiros. O plano também buscava aumentar substancialmente a função dos Escritórios Regionais e definir melhor o envolvimento da DNDi em facilitar o acesso dos pacientes aos tratamentos.

Em 2014, a DNDi iniciou o processo de elaboração do seu Plano de Negócios seguinte, para cobrir o período de 2015 a 2023. Por meio de um extenso exercício de consulta com os membros fundadores e os principais atores de saúde no mundo todo, a DNDi analisou o cenário de pesquisa e desenvolvimento, fez um levantamento das lacunas emergentes em P&D, explorou o envolvimento de outros interlocutores na abordagem dessas necessidades e identificou tendências para o futuro. Como resultado, o processo de tomada de decisões foi adaptado para

QUEM SOMOS NÓS

A iniciativa Medicamentos para Doenças Negligenciadas (DNDi) foi criada em 2003 para abordar necessidades específicas de pesquisa e desenvolvimento (P&D) de pacientes negligenciados ao preencher lacunas no desenvolvimento de medicamentos esquecidos pelo mercado e por falhas na política pública, fazendo com que milhões de pessoas não tivessem tratamentos adaptados às suas necessidades ou sequer fossem tratadas. A DNDi foi criada por instituições-chave de pesquisa e saúde, notadamente do setor público de países onde as doenças negligenciadas são endêmicas, com financiamento inicial dos Médicos Sem Fronteiras (MSF), organização que ganhou o Prêmio Nobel da Paz em 1999. A DNDi é uma organização de P&D internacional, independente, sem fins lucrativos, que trabalha para desenvolver novos tratamentos para pacientes negligenciados. Até o momento, a DNDi produziu seis novos tratamentos e construiu o maior pipeline de medicamentos para algumas das doenças mais negligenciadas, incluindo melhorias em medicamentos existentes e entidades químicas totalmente novas (NCEs, New Chemical Entities).

PARCEIROS FUNDADORES DA DNDi

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

garantir que a organização continue sensível às necessidades dos pacientes negligenciados e os modelos adequados foram concebidos.

A seguir apresenta-se um resumo do novo Plano de Negócios 2015-2023, adotado pelo Conselho Diretor em 2015. Ele reitera os princípios sobre os quais a organização foi construída:

- Abordagem orientada para as necessidades dos pacientes;
- Um firme compromisso para promover o compartilhamento aberto de conhecimento e dados de pesquisas, enquanto assegura uma abordagem de gestão e licenciamento da propriedade intelectual (PI) orientada para o acesso;
- Promoção de parcerias inovadoras e colaborativas;

- Diversificação de fontes de financiamento para garantir a independência científica.

A DNDi vai fortalecer seu modelo de P&D colaborativo, mantendo o foco principal em algumas das doenças mais negligenciadas ao mesmo tempo que se mantém flexível para aumentar seu escopo de doenças, melhor respondendo às necessidades urgentes e não atendidas dos pacientes dentro do cenário de mudanças constantes de P&D em saúde.

negligenciados melhorou,

→ Um sistema de inovação biomédica insustentável

Como ilustrado na fase de avaliação do cenário de P&D do processo de elaboração do Plano de Negócios, há um reconhecimento e um consenso crescente que o atual sistema de inovação biomédica fracassou em desenvolver tecnologias de saúde adequadas e de custo acessível, especialmente para aqueles em condição mais vulnerável no mundo. Tendências epidemiológicas estão mudando, com os países de baixa e média renda (LMIC – low and middle income countries) experimentando, cada vez mais, uma dupla carga de doenças, considerando-se as doenças transmissíveis e as não-transmissíveis. Completando essa situação, as estimativas mostram que até o ano 2020, a maioria da população que vive com menos de dois dólares ao dia estará em países emergentes e impossibilitada de acessar inovações médicas se os desafios atuais de inovação e acesso não forem abordados. A mudança da tendência epidemiológica traz o risco do surgimento de doenças infecciosas, como a resistência antimicrobiana, uma ameaça para a saúde no mundo inteiro. Seguindo o pico da crise do Ebola, iniciativas foram e serão

propostas para abordar a necessidade de um fundo e um mecanismo global que devem alinhar, e não fragmentar ainda mais, as prioridades, coordenação e financiamento dos esforços de P&D para acelerar a inovação e garantir acesso equitativo ao tratamento de uma gama variada de doenças.

Entretanto, o atual sistema de inovação biomédica está se tornando insustentável para todos os países, independente da área da doença ou classificação de renda, por causa dos três principais responsáveis pelo não atendimento das necessidades:

- prioridades de P&D não se originam em países de baixa e média renda e não colocam em primeiro lugar as necessidades dos pacientes;
- inovações médicas não estão ligadas ao acesso equitativo;
- incentivos de mercado alinhados ao atual sistema de propriedade intelectual não abordam adequadamente as necessidades de saúde pública da população mundial que vive em situação de pobreza.

Dentro desse contexto, agora, mais do que nunca é importante que instituições como a DNDi estimulem a inovação de maneira a garantir o acesso equitativo e explorem continuamente novos caminhos para o desenvolvimento de medicamentos ao mesmo tempo em que defendem a mudança sistêmica. A DNDi modificou sua declaração de missão para melhor responder às mudanças de cenário e para permitir que a organização:

- aborde as necessidades das pessoas afetadas por doenças negligenciadas, cujo escopo vai além das doenças transmissíveis mais negligenciadas;
- adote uma abordagem de portfólio mais dinâmica para P&D, permitindo modelos operacionais mais flexíveis, proativos e diversificados;
- persista em seus esforços para aumentar a capacidade de pesquisa em países endêmicos;
- defenda mais enfaticamente a responsabilidade pública e uma estrutura de P&D mais capaz e sustentável, que garantam tanto a inovação quanto o acesso igualitário dos pacientes às tecnologias de saúde.

PRINCIPAIS CONQUISTAS ATÉ O MOMENTO (2003-2015)

• Seis tratamentos entregues

Malária: dois tratamentos de dose fixa combinada (FDC, Fixed-Dose Combination): artesunato-amodiaquina (ASAQ FDC) e artesunato-mefloquina (ASMQ FDC)

Doença do sono: tratamento combinado nifurtimox-eflornitina (NECT)

Leishmaniose visceral na África: tratamento combinado de estibogluconato de sódio e paromomicina (SSG&PM)

Leishmaniose visceral na Ásia: um conjunto de tratamentos, incluindo combinações de medicamentos com paromomicina e miltefosina, e anfotericina B lipossomal

Doença de Chagas: formulação com dosagem pediátrica de benznidazol

- Portfólio com mais de **30 projetos** englobando **seis áreas de doenças**
- **Quinze entidades químicas totalmente novas (NCEs)** no portfólio de P&D
- **Mais de 130 parcerias institucionais**, a maioria das quais em países endêmicos
- **Equipe de 150 membros**, mais da metade em países endêmicos, e cerca de 600 pessoas trabalhando em projetos da DNDi por meio de organizações parceiras
- **Mais de 350 milhões de euros levantados até o momento**, tanto do setor público quanto do privado
- **Três plataformas de pesquisa clínica para doenças específicas** e duas transferências de tecnologia já realizadas

O foco principal da DNDi se mantém enquanto a organização se adapta às necessidades em transformação

→ Visão

Melhorar a qualidade de vida e a saúde das pessoas que sofrem de doenças negligenciadas usando um modelo alternativo de desenvolvimento de medicamentos e garantindo acesso equitativo a ferramentas de saúde novas e relevantes para a área.

Nesse modelo sem fins lucrativos impulsionado pelo setor público, diferentes atores colaboram para aumentar a conscientização sobre a necessidade de pesquisa e desenvolvimento de medicamentos para aquelas doenças negligenciadas que estão fora da lógica mercadológica de P&D. Eles também incentivam a responsabilidade e liderança do setor público de responder às necessidades desses pacientes.

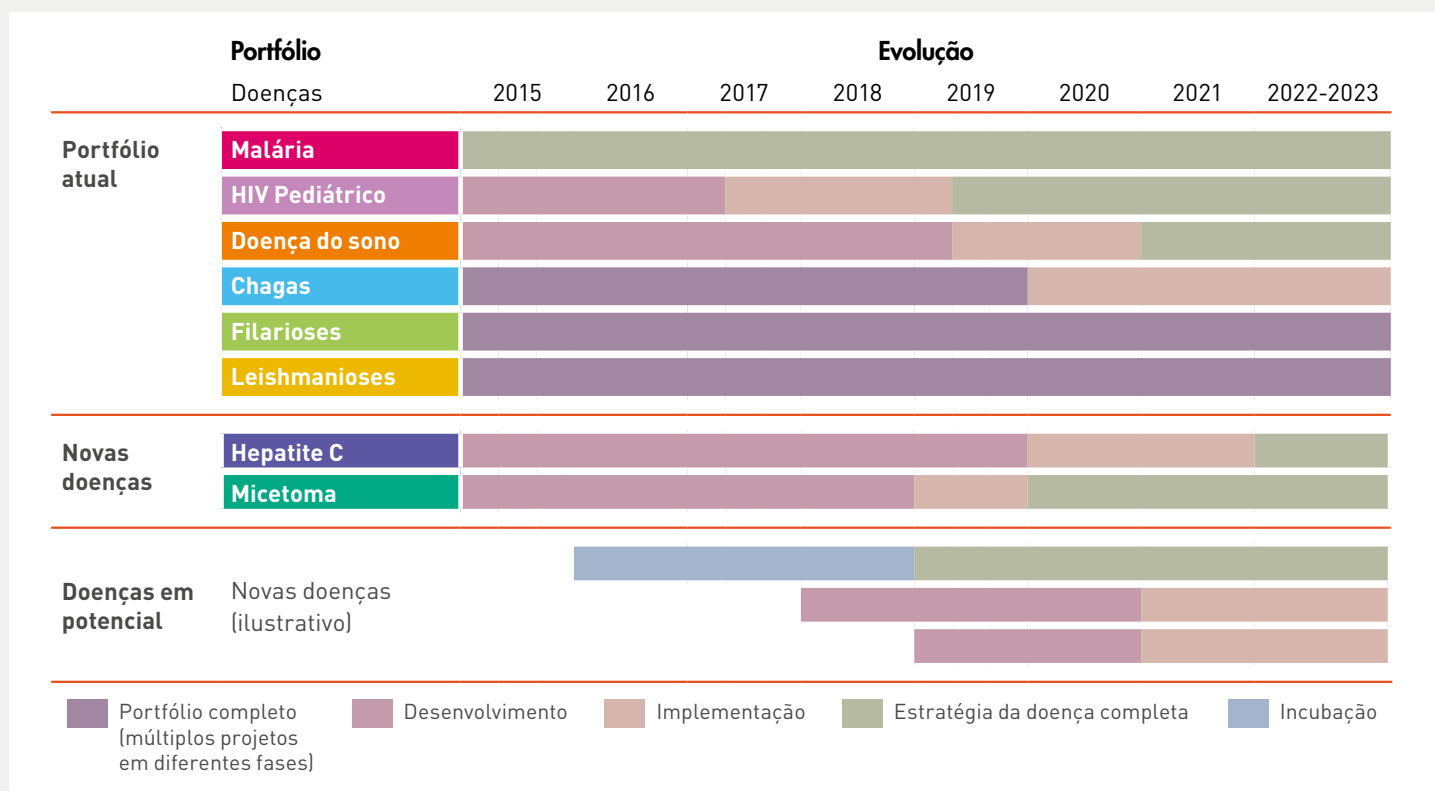
→ Missão

- Desenvolver novos medicamentos ou novas formulações de tratamentos existentes para **pessoas afetadas por doenças negligenciadas**. Atuando no interesse público, a DNDi supre as falhas de pesquisa e desenvolvimento existentes em relação a fármacos essenciais para essas doenças ao iniciar e coordenar projetos de P&D de medicamentos em colaboração com a comunidade internacional de pesquisa, o setor público, a indústria farmacêutica e outros parceiros relevantes.
- O **foco principal** da DNDi tem sido o desenvolvimento de medicamentos para as **doenças mais negligenciadas**, como doença do sono (tripanossomíase humana africana), calazar (leishmaniose visceral) e doença de Chagas, ao mesmo tempo em que considera envolver-se em **projetos de P&D para outros pacientes negligenciados** (por ex., malária, HIV pediátrico, filaríases) e no desenvolvimento de diagnósticos e/ou

vacinas para abordar necessidades ainda não atendidas que outras organizações não têm capacidade ou vontade de abordar.

- Na busca por cumprir esses objetivos, a DNDi capacita redes de P&D construídas com colaboração global. Ao mesmo tempo em que utiliza o conhecimento existente em países onde a doença é endêmica, a DNDi contribui para **fortalecer capacidades de maneira sustentável**, o que inclui transferência de conhecimento e tecnologia na área de P&D de medicamentos para doenças negligenciadas.
- Para abordar as novas necessidades da saúde pública e manter o compromisso da DNDi de trabalhar conforme os objetivos do atual conjunto de doenças, adotou-se uma **abordagem de portfólio dinâmico**. Isso permite que a DNDi assuma novas doenças com vários modelos operacionais ao mesmo tempo em que completa os objetivos em relação às doenças atuais.

Ilustração da progressão do portfólio de doenças com a abordagem dinâmica de P&D



Uma abordagem mais dinâmica para atender às necessidades dos pacientes negligenciados

Uma abordagem mais dinâmica de portfólio foi desenvolvida para permitir que a DNDi mantenha seu foco principal nas doenças mais negligenciadas, sendo, ao mesmo tempo, flexível. E, desta forma, ampliando o escopo das doenças, a fim de incluir necessidades atuais e futuras ainda não contempladas e/ou urgentes. Esta abordagem envolve uma estrutura minuciosa de tomada de decisão e avaliação para a escolha de novas oportunidades, bem como a retirada dos projetos do portfólio quando são concluídos, como ocorreu recentemente com a malária.

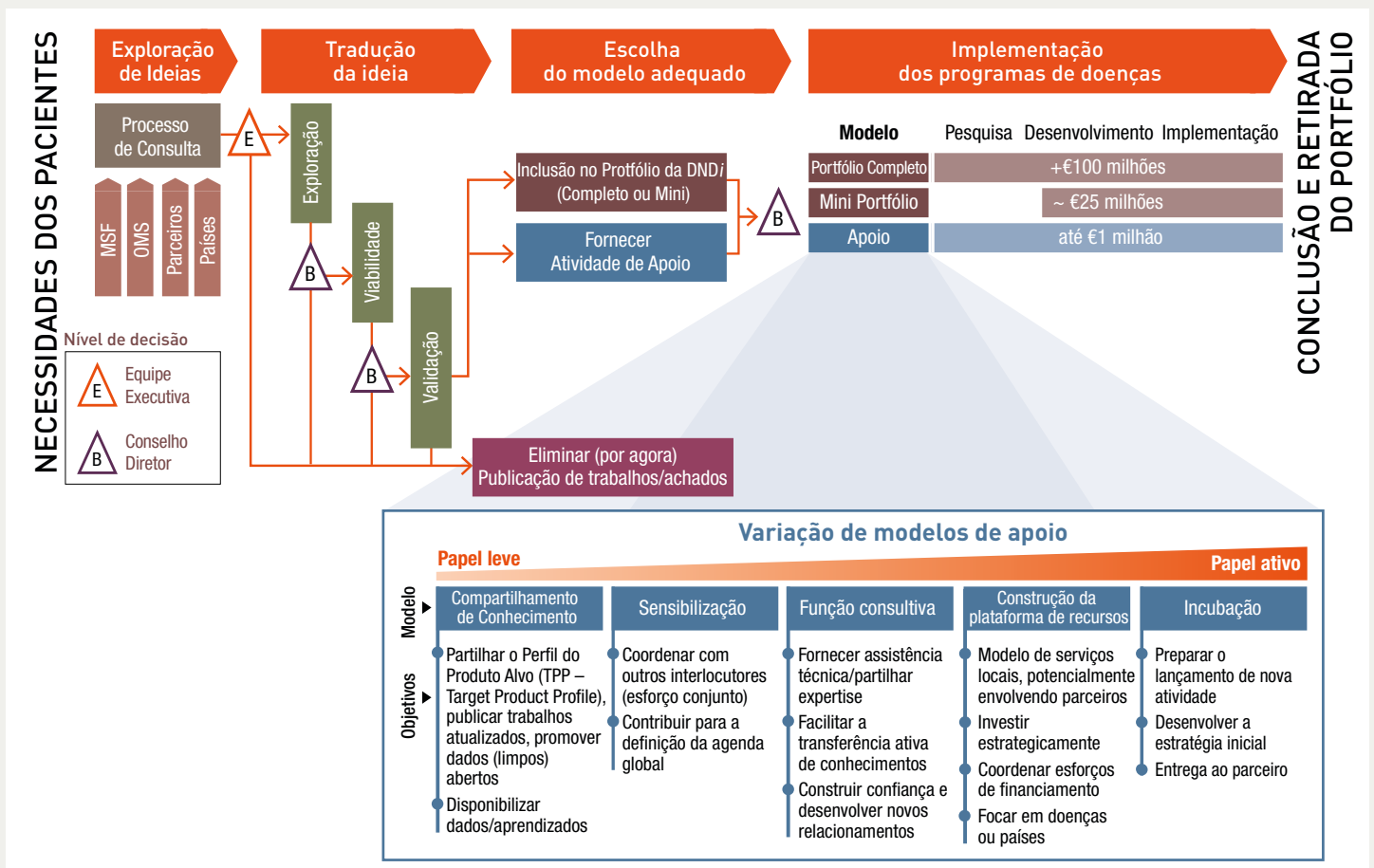
Esse processo pressupõe uma fase de exploração de ideias, na qual as necessidades e interesses dos pacientes são analisados com parceiros, seguindo-se a tradução da ideia, quando são conduzidos estudos de viabilidade e validam-se opções a fim de que o Conselho tome uma decisão, ouvindo a Comissão de Assessoria Científica.

A fase final compreende a escolha de um modelo no qual o projeto é definido com mais detalhes e preparado para ser lançado, se aprovado. Em última instância, as decisões para entrar em novos projetos serão sempre baseadas nas necessidades dos pacientes, oportunidades de P&D existentes, ausência de outros atores no campo e capacidade de envolver parceiros operacionais.

Como nem todas as áreas de doenças precisarão da mesma quantidade de esforço e investimento por parte da DNDi, foram desenhados vários modelos operacionais para adequar o envolvimento da DNDi e permitir uma resposta às necessidades globais de P&D em saúde, à medida que essas necessidades surgem. Novos projetos podem requerer múltiplos modelos para abordar as necessidades não atendidas, variando desde uma abordagem leve (como compartilhamento de conhecimento ou ajuda com a sensibilização) até abordagens

mais ativas (incluindo a formação de novas plataformas de recursos ou servindo de incubadora para uma ideia que, ao final, poderá ser externalizada. Isso pode ser conseguido pela sua integração ao portfólio existente, definindo-se claramente um critério de saída, um resultado ideal do compartilhamento do conhecimento ou uma função consultiva. A resistência antimicrobiana (AMR – Antimicrobial Resistance), por exemplo, poderia se beneficiar de um modelo de incubadora, pois permitiria que outra equipe desenvolvesse a ideia ainda mais, preparando o lançamento de uma nova entidade sem fins lucrativos. Ao pilotar cinco modelos de apoio diferentes, a DNDi pode alcançar um impacto ainda maior e, a partir de sua experiência, pode abordar necessidades médicas ainda não atendidas sem pôr em risco suas áreas de foco e/ou sem esgotar seus recursos (tanto humanos quanto financeiros).

Um novo quadro de tomada de decisões permite um portfólio dinâmico composto por diferentes modelos (regionais) para a escolha de novas oportunidades



Objetivo de longo prazo da DNDi: 16 a 18 de 650 milhões de euros até 2023

DNDi permanecerá focada nas doenças mais negligenciadas. Ao longo do tempo, mais áreas de doenças e modelos de apoio serão integrados, com a possibilidade de serem iniciados e liderados pelos Escritórios Regionais.

Atualmente

LEISHMANIOSES

Um tratamento combinado oral seguro, de baixo custo e curta duração para leishmaniose visceral (LV); um novo tratamento para leishmaniose dérmica pós-calazar; opções terapêuticas para pacientes coinfectados com HIV/LV; um novo regime terapêutico de primeira linha para LV na América Latina e um novo tratamento para leishmaniose cutânea (LC).

DOENÇA DE CHAGAS

Um tratamento oral efetivo e seguro para as formas crônica e aguda da doença de Chagas, incluindo novos regimes terapêuticos e tratamentos combinados com benznidazol, além de novas entidades químicas que se espera que surjam na fase inicial de descoberta de compostos.

DOENÇA DO SONO (TRIPANOSSOMÍASE HUMANA AFRICANA)

Um tratamento oral seguro e efetivo para as duas fases da doença do sono, em apoio às metas para eliminação da doença e conclusão do projeto.

FILARIOSES

Um novo tratamento para adultos e crianças com filariose linfática e oncocercose que seja um macrofilaricida (remédio que mata vermes adultos) oral, de curta duração, bem tolerado, acessível financeiramente e adaptado a climas tropicais.

HIV PEDIÁTRICO

Dois novas formulações pediátricas "quatro em um", contendo os inibidores de protease lopinavir-ritonavir (LPV/r) e dois inibidores da transcriptase reversa análogos de nucleosídeos (ITRN: abacavir ou zidovudina e lamivudina); um potencializador pediátrico isolado (ritonavir) para crianças com coinfeção HIV-TB (HIV-tuberculose); conclusão desse projeto ou transição para outros projetos de formulação de fármacos pediátricos.

Novos

MICETOMA

Uma abordagem pragmática de curto prazo com base em uma oportunidade terapêutica existente: DNDi e parceiros vão conduzir um ensaio clínico em pacientes para testar fosravuconazol, o candidato a medicamento mais eficiente em testes laboratoriais para tratar com segurança os pacientes com micetoma.

VÍRUS DA HEPATITE C (HCV)

Para atender as necessidades específicas de pacientes com HCV em países de baixa e média renda, o objetivo da DNDi é desenvolver uma ferramenta de saúde pública acessível usando antivirais de ação direta. A DNDi formará parcerias com os governos da Tailândia e da Malásia e fornecedores para conduzir ensaios clínicos de novos antivirais de ação direta a fim de auxiliar, com evidências científicas, em processos decisórios no âmbito da saúde pública. Devido ao ambiente rapidamente mutável do HCV, a DNDi também apoia atividades relacionadas ao acesso nessa área.

Exploratório

RESISTÊNCIA ANTIMICROBIANA (AMR)

Em estreita colaboração com a OMS e outros grandes interessados, a DNDi pode incubar uma força tarefa para avaliar o potencial de uma nova iniciativa global para responder às necessidades não atendidas no campo de P&D para resistência antimicrobiana, com a expectativa de que a iniciativa se torne independente após 18 meses.

Completo

MALÁRIA

Depois de produzir dois tratamentos para malária, a DNDi transferiu os projetos para Medicines for Malaria Venture (MMV) e cessou suas atividades nessa área.

2015

6 tratamentos entregues
350 milhões de euros levantados



Influenciar o cenário de P&D para doenças negligenciadas

- A DNDi defende maior liderança política, financiamento sustentável e boas políticas públicas que estimulem P&D voltada para as maiores necessidades de saúde pública.
- A DNDi dará passos concretos para analisar, conduzir e coletar evidências dos seus modelos de inovação alternativos e abertos: realizando gestão pró-acesso de propriedade intelectual e licenciamento; incentivando desvinculação do preço dos produtos dos custos de P&D; e promovendo caminhos regulatórios inovadores.
- Os esforços para uma política global serão voltados para a criação de um fundo global e mecanismo para inovações de relevância para a saúde pública por meio do engajamento de líderes em saúde pública de países de baixa e média renda.

novos tratamentos, com investimento total

2023

16 a 18 tratamentos

2023

10 a 12 tratamentos
adicionais entregues

300 milhões de euros necessários
para alcançar um total de
650 milhões de euros de investimento



Desenvolver tratamentos para pessoas afetadas por doenças negligenciadas

- Como definido neste novo Plano de Negócios, o objetivo principal da DNDi é entregar um total de 16 a 18 tratamentos até 2023 (incluindo aqueles entregues até setembro de 2015).
- Expandir as redes de P&D formadas nas regiões; a DNDi atingirá esse objetivo enquanto testa vários modelos de implementação.
- Desenvolver três novas entidades químicas (NCEs), incluindo combinações com uma NCE, e o portfólio englobará aproximadamente dez doenças durante um período de 20 anos (2003-2023).



Fortalecer a capacidade de pesquisa

A DNDi trabalha para capacitar redes de P&D ao mesmo tempo em que aproveita as possibilidades de suporte existentes em países de baixa e média renda:

- Mantendo e formando plataformas de P&D (p. ex., transformar uma plataforma na África em uma plataforma sustentável de recursos para estudos clínicos).
- Promovendo iniciativas regionais (p. ex., programas de otimização na América Latina e Índia).
- Facilitando o acesso dos pacientes aos tratamentos.
- Fornecendo treinamento para apoiar os esforços de P&D em países endêmicos.
- Promovendo transferência de tecnologia para fabricantes locais.

Um roteiro organizacional para o crescimento

A proximidade com os pacientes é fundamental no trabalho para atender suas necessidades

A DNDi tomou medidas concretas para investir na expansão e **desenvolvimento dos seus Escritórios Regionais**, especialmente aqueles em regiões onde as doenças negligenciadas são endêmicas. Para garantir que suas atividades sejam conduzidas próximas aos pacientes, a quem a DNDi foi criada para atender, projetos de P&D regionais, redes de excelência, programas de fortalecimento de capacidades, atividades de acesso e sensibilização serão cada vez mais desenvolvidos pelos Escritórios Regionais.

O crescimento é controlado e estável, aumentando para 50 milhões de euros ao ano

Nos últimos oito anos o orçamento da DNDi quase triplicou e, para atender os objetivos definidos pela organização, o crescimento projetado para o próximo período do Plano de Negócios estabilizará, alcançando aproximadamente 30% ao longo de um período de nove anos. Além disso, a abordagem de portfólio dinâmico levará a um equilíbrio dos investimentos entre as doenças iniciais e os novos programas.

Tendo em vista uma estrutura enxuta, os custos administrativos permanecerão

baixos, representando cerca de 12,5%. Outras missões sociais, incluindo sensibilização e fortalecimento da capacidade local, permanecerão estáveis em 15%, e os 72,5% restantes serão voltados para atividades de P&D.

Com base na análise de seu modelo, a DNDi estima que o custo de desenvolvimento varie de 6 milhões a 20 milhões de euros para o aperfeiçoamento de um tratamento, e de 30 milhões a 40 milhões de euros para uma nova entidade química (NCE). Entretanto, a taxa de desgaste para a descoberta e desenvolvimento de medicamentos no campo das doenças infecciosas e o inerente risco de fracasso devem ser levados em conta, aumentando a variação de custo do aperfeiçoamento de tratamento para 10 milhões a 40 milhões de euros, e de 100 milhões a 150 milhões de euros para uma NCE. Essas estimativas não incluem as contribuições sob a forma de bens e serviços dos muitos parceiros da DNDi.

A visão de 2023 baseia-se num orçamento estimado de 440 milhões de euros para o período 2015-2023, incluindo 340 milhões de euros associados ao portfólio atual de doenças e atividades (incluindo aquelas com 'outra missão social') e 100 milhões de euros para novas oportunidades.

Trinta por cento das necessidades financeiras já foram asseguradas

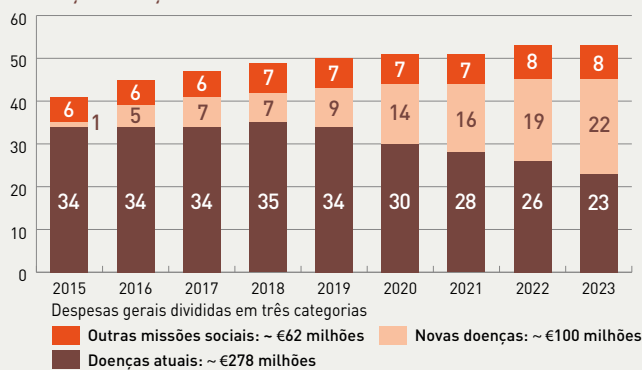
No lançamento deste Plano de Negócios, em setembro de 2015, 140 milhões dos 440 milhões de euros necessários para desenvolver de 10 a 12 tratamentos adicionais até 2023 já foram garantidos. A DNDi procura levantar a maior parte da verba sem restrições ou para todo o seu portfólio de tratamentos e manter um equilíbrio entre as fontes de financiamento públicas e privadas, sem que um único doador contribua com mais de um quarto do orçamento geral. Espera-se que economias emergentes e mecanismos de financiamento inovadores tenham uma importância cada vez maior no cenário dos doadores.

As pessoas por trás do nosso trabalho

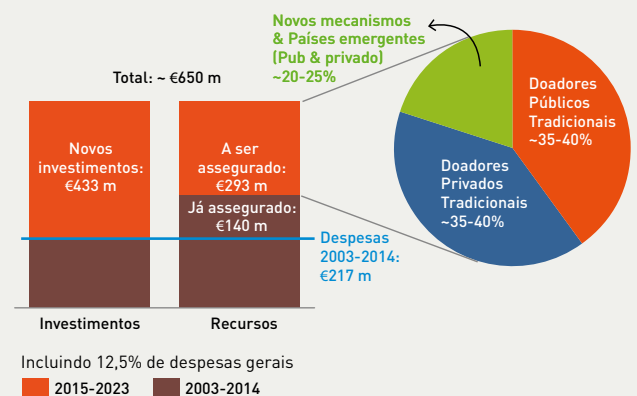
A maior parte do aumento de recursos humanos ocorrerá nos Escritórios Regionais (80% de novos colaboradores), chegando a 210 colaboradores (dos atuais 150) até 2023. A proporção entre colaboradores diretos da DNDi e pessoas de outras instituições que trabalham em projetos da DNDi permanecerá estável, em aproximadamente 1:4. Com base em seu 'modelo virtual', a DNDi permanecerá encarregada da coordenação e da função de facilitadora com parceiros e partes interessadas.

Projeções que incluem o portfólio dinâmico mostram que será necessário um orçamento médio anual de 48 a 50 milhões de euros

PROJEÇÕES ORÇAMENTÁRIAS 2015-2023



Novo Plano de Negócios 2015-2023: 440 milhões de euros 140 milhões de euros já assegurados (30%)



➔ O trabalho da DNDi só é possível por meio de suas parcerias

O trabalho da organização não seria possível sem a presença de pessoas apaixonadas e motivadas, de diferentes formações, vindas do setor público, privado e não governamental. As pessoas e parceiros por trás do sucesso da DNDi no mundo incorporam os valores da organização na sua abordagem voltada para os pacientes, a melhor ciência e qualidade para os mais negligenciados, compromisso com a formação de parcerias, pragmatismo e responsabilidade, e espírito empreendedor e inovação.

DNDi

Drugs for Neglected Diseases *initiative*
Iniciativa Medicamentos para Doenças Negligenciadas

Rua Santa Heloísa, 05 - Jardim Botânico - Rio de Janeiro, Brasil
CEP: 22460-080 - TEL (55) 21- 2215-2941/ 2529-0400

www.dndial.org