

A young child with dark skin and short hair is the central figure, looking directly at the camera with a neutral expression. They are wearing a light-colored, long-sleeved shirt and a white cloth is tied around their waist. A baby is strapped to their back, visible from the side. The background shows a rural setting with several huts made of mud and thatched roofs. The ground is dry and dusty. The overall tone is somber and focused on the subjects.

# NOUVEL ESPOIR

POUR LES PATIENTS  
NÉGLIGÉS

**DNDi**

Drugs for Neglected Diseases *initiative*  
*Initiative Médicaments contre les Maladies Négligées*





Agissant au nom de l'intérêt public et en collaboration avec la communauté internationale de la recherche, le secteur public, l'industrie pharmaceutique ainsi que d'autres partenaires, l'*initiative* Médicaments contre les Maladies Négligées (DNDi) découvre, développe et propose de nouvelles thérapies disponibles pour les patients souffrant de certaines des maladies transmissibles les plus négligées.

# DES MILLIONS DE PATIENTS ONT BESOIN D'UN TRAITEMENT

Les maladies négligées affaiblissent, défigurent, aveuglent ou tuent leurs victimes

Malgré les progrès importants réalisés par la médecine au cours des 50 dernières années, plus d'un milliard de personnes, dont 500 millions d'enfants, continuent de souffrir de maladies pour lesquelles il n'existe pas de traitement adapté. Les patients souffrant de maladies négligées peuvent rester alités et sans travail pendant des semaines ou des mois. Ces maladies perpétuent la pauvreté, particulièrement chez les femmes et les enfants qui vivent en Afrique, en Asie et en Amérique latine avec un ou deux dollars par jour.

Il n'existe que peu d'incitation à la recherche et au développement de traitements fondamentalement nouveaux ou de meilleure qualité. Les traitements existants peuvent être, soit trop coûteux, soit non adaptés aux besoins médicaux des patients. Pire encore, pour certaines maladies négligées, des traitements adaptés, sûrs et efficaces n'existent tout simplement pas.

## Angèle



*Pendant six mois, j'ai éprouvé de terribles maux de tête et des frissons toutes les nuits. L'équipe mobile est arrivée dans mon village et m'a diagnostiquée la maladie du sommeil. Après avoir marché pendant deux jours en étant enceinte de quatre mois, je suis finalement parvenue à l'hôpital où j'ai été soignée avec le traitement NECT."*

Angèle, 24 ans, fermière et mère d'un enfant de trois ans, a été traitée à l'hôpital de Masi Manimba en République démocratique du Congo.

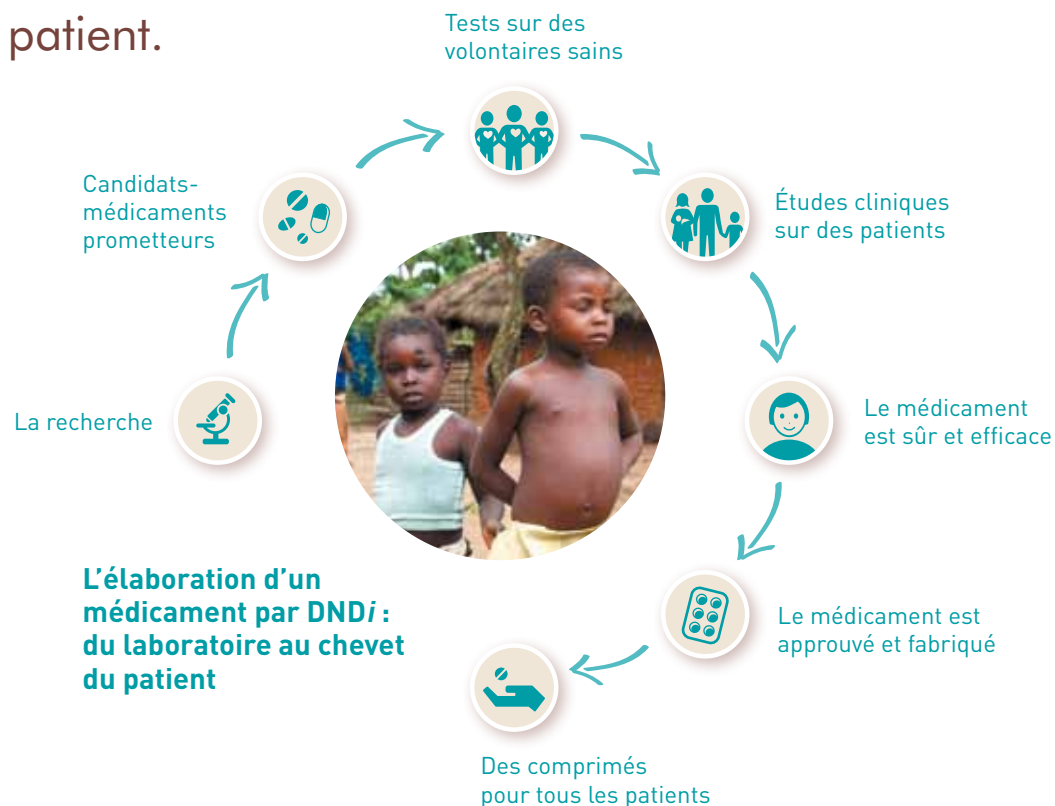
**Grâce à NECT**, développé par DNDi et ses partenaires, des patients atteints de la maladie du sommeil ont un traitement sûr et efficace pour guérir de la maladie. La vie d'Angèle a été sauvée. Mais d'autres patients n'ont pas la même chance.



# COMMENT LUTTONS-NOUS CONTRE LES MALADIES NÉGLIGÉES ?

En transformant une molécule dans un laboratoire en un comprimé dans la main d'un patient.

**Ce sont les besoins des patients – et non les gains financiers – qui sont au cœur de notre stratégie de développement de médicaments.** À la manière d'un « chef d'orchestre virtuel », DNDi rassemble différents partenaires et expertises à travers le monde, avec pour objectif de développer 11 à 13 nouveaux traitements d'ici 2018. Notre but ultime est le développement de médicaments simples et efficaces, administrables par voie orale et faciles à utiliser dans les zones qui ont un accès limité aux systèmes de santé. Le processus débute avec les chercheurs de laboratoires qui testent des centaines de milliers de molécules, en général fournies par les groupes pharmaceutiques, afin de détecter celles qui sont actives contre chaque maladie. Les molécules prometteuses sont ensuite testées sur des volontaires sains, puis c'est au tour des patients d'être traités avec ces médicaments lors d'études cliniques, dans les zones où les maladies négligées sont endémiques. Si le médicament est sûr et guérit effectivement la maladie, il est fabriqué et obtient l'agrément de l'Organisation mondiale de la santé et des autorités sanitaires nationales.



## Un réseau mondial de partenaires contribue à la mission de DNDi

Dans plus de 40 pays, DNDi collabore avec de nombreux partenaires publics et privés, dont 50 institutions publiques de recherche et universités, 20 entreprises pharmaceutiques et biotechnologiques, des gouvernements, des organisations non gouvernementales ainsi que des groupes issus de la société civile, afin de développer des traitements non-brevetés qui seront accessibles à un prix abordable.





### Renforcer des capacités de recherche dans les pays et les communautés directement touchés par les maladies

DNDi a mis en place des plateformes, ou réseaux régionaux, de recherche sur des maladies spécifiques. Ils soutiennent et développent les capacités locales à mener des essais cliniques dans des centres proches des patients. Infrastructures et formations sont apportées afin de garantir le respect des normes internationales.

Ainsi, DNDi peut accélérer le développement des médicaments et faire baisser leur coût. Les stratégies à court terme visent à améliorer les traitements existants, alors que celles sur le long terme sont axées sur le développement de nouvelles molécules menant à de nouveaux médicaments considérés comme « révolutionnaires ».

# LES MALADIES NÉGLIGÉES NE FONT PEUT-ÊTRE PAS LA UNE DE L'ACTUALITÉ

Une recherche ciblée, des résultats concrets, des médicaments indispensables



## LA MALADIE DU SOMMEIL

La maladie du sommeil, ou trypanosomiose humaine africaine (THA), est transmise par la piqûre de la mouche tsé-tsé. Elle attaque le système nerveux et peut entraîner le coma.

**Sans traitement, la maladie du sommeil tue.**

- 60 millions de personnes sont menacées
- Elle est endémique dans 36 pays d'Afrique sub-saharienne. Huit pays comptent 97 % de tous les cas recensés, dont plus des deux tiers en République démocratique du Congo

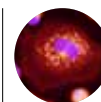
*Il n'y a pas si longtemps, nous devions traiter les patients avec un dérivé de l'arsenic. Le stress qu'éprouvait le personnel était énorme. Nous avons tous fait l'expérience de voir mourir un patient à cause du traitement. Devoir l'expliquer aux familles était insupportable pour nous médecins. Or, depuis le développement de NECT, nous avons vécu une première révolution dans les soins de santé. Mais un traitement exclusivement oral serait une véritable révolution."*

**Dr Nganzobo Pathou**, Chef du Personnel, Hôpital général de Bandundu, RDC



## Missions actuelles de DNDi

- Augmenter l'accès des patients à NECT, un traitement développé en 2009 par DNDi et ses partenaires
- Mener à terme les essais cliniques de deux nouveaux candidats-médicaments administrables par voie orale exclusivement : le fexinidazole et l'oxaborole SCYX-7158



## LA LEISHMANIOSE

La leishmaniose est transmise par la piqûre d'un phlébotome femelle. La leishmaniose viscérale (LV ou kala azar) provoque de la fièvre, un amaigrissement, l'augmentation du volume de la rate et du foie, de l'anémie, et **la maladie est mortelle si elle n'est pas traitée**. La leishmaniose cutanée (LC) provoque des lésions cutanées qui peuvent défigurer le patient et entraîner sa stigmatisation.

- 350 millions de personnes sont menacées dans 98 pays
- Le kala azar touche essentiellement les enfants de moins de cinq ans, principalement dans le sous-continent indien et en Afrique de l'Est
- Les enfants de moins de 12 ans représentent 70 % des cas. Chaque année environ 15 000 enfants en meurent

*Au début, j'ai pris des médicaments à base de plantes, mais mon état a empiré. Mon voisin m'a alors parlé du centre de santé où je pouvais recevoir un traitement contre le kala azar. Dès la première piqûre, j'ai eu moins de fièvre, j'ai eu moins de maux de tête et je me sentais moins faible. J'ai appris que la durée de ce nouveau traitement était de 17 jours seulement. C'était une bonne nouvelle."*

**Lemarus**, berger et agriculteur, district de Pokot Est, Kenya

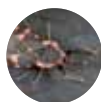


## Missions actuelles de DNDi

- Accroître l'accès des patients au traitement sur 17 jours SSG&PM (développé en 2010 par DNDi et ses partenaires) en Afrique de l'Est, et accroître l'accès des patients aux combinaisons thérapeutiques en Asie
- Tester des traitements plus courts, meilleur marché et plus sûrs en utilisant les médicaments actuellement disponibles
- Trouver de nouveaux candidats-médicaments oraux prometteurs



# MAIS ELLES TOUCHENT PLUS D'UN MILLIARD DE PERSONNES DANS LE MONDE



## LA MALADIE DE CHAGAS

La maladie de Chagas (trypanosomiose américaine) est transmise par la piqûre d'un triatome ou « punaise américaine ». Elle se transmet aussi de la mère infectée à son nouveau-né. La maladie est la cause principale des pathologies cardiaques d'origine infectieuse en Amérique latine.

- 100 millions de personnes menacées, principalement en Amérique latine
- 8 millions de personnes infectées, avec environ 12 000 décès chaque année
- 2 à 10% des mères infectées qui vivent dans des régions endémiques, en Argentine et en Bolivie par exemple, transmettent la maladie à leur nouveau-né

*Ma famille a découvert que nous étions tous infectés après l'arrêt cardiaque fatal de mon père provoqué par la maladie de Chagas. Nous avons tous été soignés immédiatement, mais mon frère de 25 ans a subi les effets secondaires des médicaments et souffre déjà de problèmes cardiaques."*



Daniel, 27 ans, Cochabamba, Bolivie

### Missions actuelles de DNDi

- Favoriser l'usage benznidazole pédiatrique
- Tester des options plus courtes, meilleur marché et plus sûres en utilisant les médicaments actuellement disponibles
- Trouver de nouveaux candidats-médicaments oraux prometteurs
- Promouvoir un accès plus large au traitement (actuellement, seul 1 % des malades en bénéficie)



## FILARIOSES

Les filarioses sont des maladies causées par des vers parasites transmis par des piqûres de mouches et de moustiques. Elles entraînent la cécité, l'augmentation du volume des membres et des parties génitales, des démangeaisons intenses et des douleurs chroniques.

- 1,5 milliard de personnes menacées
- 25 millions de personnes infectées dans le monde par la « cécité des rivières », deuxième cause de cécité d'origine infectieuse dans le monde
- Plus de 120 millions de personnes souffrent d'éléphantiasis. 40 millions d'entre elles souffrent de difformités et sont handicapées par la maladie

*Il y a des personnes qui ne veulent pas m'approcher ou me toucher en raison de mon état. Je ne peux m'occuper d'aucun de mes enfants ni les envoyer à l'école puisque je ne peux pas travailler."*



Akua Nyarku, 52 ans, Ghana

### Missions actuelles de DNDi

- Développer un médicament qui tue les vers adultes (macrofilaricide) et qui peut être utilisé aussi bien pour raccourcir la durée des traitements actuels reposant sur l'administration massive de médicaments (AMM) que pour le traitement individuel des patients



## VIH/SIDA PÉDIATRIQUE

Sans traitement, la moitié des enfants infectés par le VIH mourra avant l'âge de deux ans, et 80% avant l'âge de 5 ans.

- 3,3 millions d'enfants atteints par le VIH/Sida
- Chaque jour, 700 nouveaux cas de bébés infectés et environ 600 décès, principalement en Afrique sub-saharienne

*Les médicaments actuels ont un goût épouvantable qui donne aux enfants l'envie de vomir... et cause beaucoup de difficultés aux mamans. Ce dont nous avons vraiment besoin, c'est d'un médicament qui soit agréable au goût pour l'enfant, facile à utiliser pour le parent, qui puisse se conserver à température ambiante et qui idéalement contienne quatre médicaments en un comprimé."*



Dr Els Dobbels, pédiatre spécialiste du VIH, Hôpital Tygerberg, Afrique du Sud

### Missions actuelles de DNDi

- Développer deux simples associations d'antirétroviraux en dose fixe, sans goût et ne nécessitant aucune réfrigération, pour les nourrissons et les très jeunes enfants
- Développer une formulation « boostée » pour les enfants co-infectés par le VIH et la tuberculose

# SIX NOUVEAUX TRAITEMENTS MIS SUR LE MARCHÉ ET DE NOUVEAUX

Faciles d'utilisation, bon marché, adaptés au terrain, non brevetés

## Paludisme

### ASAQ

2007



(Association à dose fixe Artésunate/Amodiaquine)

- Partenariat innovant avec Sanofi
- Posologie simple : 1 ou 2 comprimés quotidiennement, pendant 3 jours
- Enregistré dans 35 pays, dont 31 en Afrique
- Pré-qualifié par l'OMS
- Sur la liste des médicaments essentiels de l'OMS (adultes et enfants)

**320 millions**

de traitements dans 31 pays africains

## Paludisme

### ASMQ

2008



(Association à dose fixe Artésunate/Méfloquine)

- Développé par DNDi et Farmanguinhos/Fiocruz, Brésil
- Posologie simple et adaptée pour les enfants et les adultes
- Enregistré au Brésil (2008), en Inde (2011), en Malaisie et au Myanmar (2012), en Tanzanie (2013), au Vietnam et au Niger (2014)
- Transfert de technologie Sud-Sud de Farmanguinhos à Cipla, en Inde
- Pré-qualifié par l'OMS (Cipla)
- Sur la liste des médicaments essentiels de l'OMS (adultes et enfants)

**1,2 millions**

de traitements en Amérique latine et en Asie

## Maladie du sommeil

### NECT

2009



(Combinaison thérapeutique Nifurtimox-Eflornithine)

- Partenariat entre DNDi, MSF, des gouvernements, des entreprises pharmaceutiques et l'OMS
- Environ 96 % de tous les malades au deuxième stade vivant dans les pays endémiques sont soignés avec NECT (2013)
- Sur la liste des médicaments essentiels de l'OMS (adultes et enfants)
- Sur la liste des médicaments essentiels de 12 pays d'Afrique (qui comptent 98 % des cas rapportés)

**13 000**

traitements en Afrique

## Leishmaniose viscérale

### SSG&PM

2010



(Combinaison thérapeutique Sodium Stibogluconate & Paromomycine)

- Partenariat entre DNDi, la Plateforme pour la Leishmaniose en Afrique de l'Est (LEAP), les programmes nationaux de contrôle du Kenya, du Soudan, d'Éthiopie et d'Ouganda, MSF et l'OMS
- Recommandé par le Comité Expert de l'OMS pour le Contrôle des Leishmanioses en Afrique de l'Est (2010)
- Dans les recommandations nationales sur la LV du Soudan, du Sud Soudan, du Kenya et de l'Éthiopie
- Enregistrement de la Paromomycine en Ouganda (2011), au Kenya (2013), et actuellement en cours dans d'autres pays d'Afrique de l'Est

**25 000**

traitements en Afrique de l'Est

## Leishmaniose viscérale

### NOUVEAUX traitements

2011

pour la LV en Inde



(Dose unitaire AmBisome® / PM+M / M+A®)

- Programme de mise en œuvre à grande échelle avec les autorités sanitaires aux niveaux régional et national et au niveau des États
- Efficaces et sûrs
- Traitement adapté au terrain
- Recommandé par le Comité Expert de l'OMS pour le Contrôle des Leishmanioses (2010)

Les traitements AmBisome®  
en dose unique et PM+M

**sont recommandés**

dans la nouvelle feuille de route de l'Inde pour l'élimination de la leishmaniose dans le pays

## Maladie de Chagas

### Benznidazol

12,5 mg

2011



(Formule pédiatrique de benznidazole)

- Partenariat avec LAPEPE, Brésil
- Traitement adapté à l'âge de l'enfant, facile à utiliser et à un prix abordable
- Comprimé facilement dispersible pour les enfants de moins de deux ans
- Enregistré au Brésil en 2011
- Sur la liste des médicaments essentiels de l'OMS
- Accord avec la Fondation Mundo Sano pour une deuxième source d'approvisionnement (2013)

Formulation pédiatrique

**exclusivement**



# MÉDICAMENTS PROMETTEURS DANS LE PORTEFEUILLE DE RECHERCHE



**13 candidats-médicaments  
totalement nouveaux**  
(nouvelles entités chimiques)  
dans le portefeuille de recherche



**25 études cliniques menées en 10 ans**  
dans des régions éloignées rurales,  
pauvres ou touchées par des conflits;  
**33 000 patients** recrutés

**57 sites d'essais cliniques**  
dans le monde pour **13 projets**  
en développement clinique



Toutes les études menées  
conformément aux **normes  
internationales d'éthique  
et de qualité**

**Evalyne**



*Je ne reconnaissais pas  
mes symptômes.  
Je suis allée à Kimalael,  
où je savais que je  
recevrais un traitement,  
que ce soit pour le  
paludisme ou  
le kala azar."*



**L'accès à un traitement  
efficace et sûr est un  
droit humain**

Evalyne est âgée de 20 ans et mère d'un bébé. Elle habite à Marigat, une petite ville de la vallée du Rift, au Kenya. Lorsqu'elle commença à se sentir faible, nauséuse et à avoir de la fièvre, elle comprit qu'elle devait se faire soigner.

Elle et son bébé firent 15 km à pied jusqu'au Centre de santé de Kimalael, soutenu par DNDi. On lui diagnostiqua le kala azar. Evalyne se fit soigner avec le traitement SSG&PM développée par DNDi et ses partenaires. Le personnel de Kimalael s'occupa d'elle et Evalyne put continuer à allaiter son petit garçon durant son séjour à l'hôpital.



Donateur, bailleur de fonds, société ou fondation :  
**tout le monde peut contribuer** et aider au développement de nouveaux traitements en finançant un projet entier, en luttant contre une maladie négligée spécifique via des programmes de formation, en participant à la rénovation d'un centre de soins ou en finançant des équipements destinés aux essais cliniques pour des laboratoires locaux.



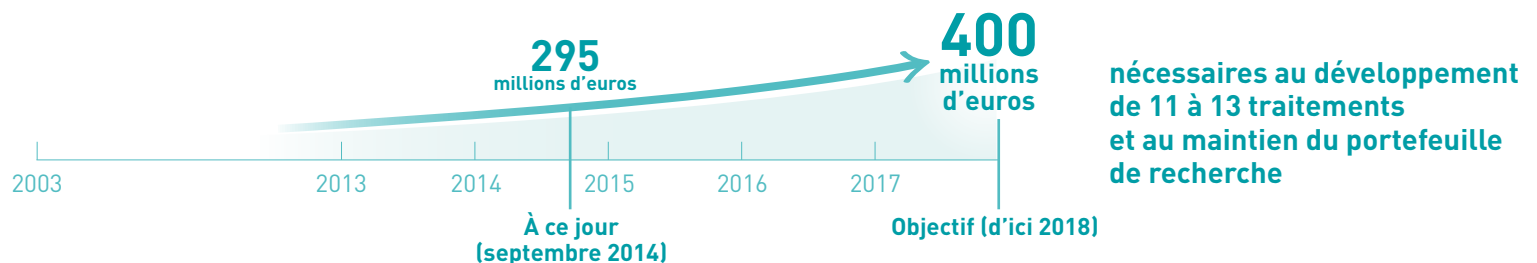
# FAITES PARTIE DE LA LUTTE CONTRE LES MALADIES NÉGLIGÉES !

**DNDi a créé un modèle innovant de recherche et développement** par la mise en commun d'expertises du monde entier, dans le but de répondre aux besoins des patients souffrant de maladies négligées.

**DNDi a déjà mis six nouveaux traitements à la disposition de millions de patients.** Mais bien davantage reste à faire pour tenir notre engagement de développer et de rendre disponible des traitements plus simples et plus accessibles. Nous avons besoin de votre soutien à tous les stades de notre activité, depuis le travail des équipes de chercheurs jusqu'à la mise à disposition de médicaments aux patients vivant dans les endroits les plus éloignés.

Aidez-nous à changer le cours des maladies négligées en soutenant dès aujourd'hui le développement de nouveaux traitements.

**Chacun a un rôle à jouer, qu'il soit petit ou grand.**





Drugs for Neglected Diseases *initiative*  
Initiative Médicaments contre les Maladies Négligées

Drugs for Neglected Diseases *initiative* (DNDi) est un organisme de recherche et de développement (R&D) sans but lucratif, dont l'objectif est de livrer de nouveaux traitements pour les maladies les plus négligées, en particulier la maladie du sommeil (trypanosomiase humaine africaine), la maladie de Chagas, la leishmaniose, les maladies aux vers filaires et le VIH/Sida pédiatrique.

BEST  
SCIENCE  
FOR THE MOST  
NEGLECTED

15 Chemin Louis-Dunant  
1202 Genève  
Suisse  
Tél.: +41 22 906 9230  
Fax: +41 22 906 9231  
dndi@dndi.org  
www.dndi.org

#### **DNDi AFRIQUE**

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

#### **DNDi RDC**

4 avenue Milambo  
Quartier Socimat  
La Gombe, Kinshasa  
République démocratique  
du Congo  
Tél.: +243 81 011 81 31

#### **DNDi INDE**

F - 79 Green Park Main  
New Delhi 110-016  
Inde  
Tél.: +91 11 4550 1795

#### **DNDi JAPON**

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

## **La vision de DNDi**

Améliorer la qualité de vie et la santé des personnes souffrant de maladies négligées grâce à un modèle alternatif de développement de médicaments qui puisse garantir aux patients un accès équitable à des outils de santé innovants et adaptés au terrain.

## **Membres fondateurs**

- Médecins Sans Frontières (MSF)
- Conseil Indien pour la Recherche Médicale, Inde
- Institut de Recherche Médicale du Kenya
- Ministère de la Santé, Malaisie
- Fondation Oswaldo Cruz, Brésil
- Institut Pasteur, France
- Programme Spécial de l'OMS pour la Recherche et la Formation en Maladies Tropicales (WHO-TDR); observateur permanent

#### **DNDi AMÉRIQUE LATINE**

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

#### **DNDi MALAISIE**

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

#### **DNDi AMÉRIQUE DU NORD**

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

Logo FSC à placer  
par l'imprimeur