



Drugs for Neglected Diseases initiative (DNDi)

Dossier de presse

7 juillet 2003

Document en provenance du site internet de Médecins Sans Frontières

<http://www.msf.fr>

Tous droits de reproduction et/ou de diffusion, totale ou partielle, sous quelque forme que ce soit, réservés pour tous pays, sauf autorisation préalable et écrite de l'auteur et/ou de Médecins Sans Frontières et/ou de la publication d'origine. Toute mise en réseau, même partielle, est aussi interdite.



drugs for neglected diseases initiative

(une initiative pour les médicaments pour les maladies négligées)

DNDi

Une solution
innovante

Document
provisoire

Vision

Améliorer la qualité de vie et la santé des personnes souffrant de maladies négligées, en créant un modèle alternatif pour développer des médicaments permettant de les traiter et en assurant un accès équitable à de nouveaux outils thérapeutiques répondant aux besoins du terrain.

Dans ce modèle à but non lucratif dont le secteur public sera le moteur, différents acteurs collaboreront afin de renforcer la prise de conscience de la nécessité de mettre au point des médicaments pour traiter ces maladies négligées, et de le faire en dehors du champ de la recherche-développement (R&D) soumise aux forces du marché. Ils favoriseront également la responsabilité et la forte implication du secteur public pour répondre aux besoins des patients.

Mission

DNDi vise à développer de nouveaux médicaments ou de nouvelles formulations de médicaments existants pour les patients souffrant des maladies transmissibles les plus négligées. Agissant dans l'intérêt public, **DNDi** comblera les lacunes actuelles dans la R&D sur les médicaments essentiels pour traiter ces maladies, cela en lançant et en coordonnant des projets de R&D sur de tels médicaments, en collaboration avec la communauté internationale des chercheurs, le secteur public, l'industrie pharmaceutique et les autres partenaires concernés.

DNDi répondra aux besoins en la matière en mettant sur pied des projets que d'autres ne sont pas en mesure ou ne sont pas disposés à mener. **DNDi** mettra principalement l'accent sur le développement de médicaments pour les maladies les plus négligées telles que la maladie du sommeil, le kala-azar et la maladie de Chagas mais elle prendra également en considération le lancement de projets de R&D sur d'autres maladies négligées. Et, pour autant que ses moyens le lui permettent, elle s'intéressera aussi au développement de méthodes diagnostiques et/ou de vaccins.

Dans la poursuite de ces objectifs, **DNDi** exploitera des réseaux de R&D fondés sur des collaborations et solidarités Sud-Sud et Nord-Sud. Elle utilisera et stimulera les capacités existantes de R&D dans les pays où ces maladies sont endémiques et contribuera à créer des capacités supplémentaires durables par le transfert de technologie en recherche-développement dans le domaine des médicaments contre les maladies négligées.

DNDi
drugs for neglected
diseases initiative
(Une Initiative pour les Médicaments pour les Maladies Négligées)

DNDi : Une Solution Innovante

Bref Historique

L'Initiative sur les Médicaments pour les maladies négligées (**Drugs for Neglected Diseases Initiative - DNDi**), à but non lucratif, émane de Médecins Sans Frontières (MSF) et du Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées, un organe indépendant formé d'experts internationaux sur les questions de santé^[1]. **DNDi** s'efforce de répondre aux besoins de recherche-développement sur de nouveaux médicaments efficaces, financièrement abordables et adaptés aux besoins des patients souffrant de « maladies négligées ». L'idée est simple : il s'agit de tirer parti des connaissances accumulées et des ressources scientifiques et technologiques de pointe pour développer les médicaments nécessaires au traitement des maladies négligées, en s'assurant que ces médicaments soient appropriés et accessibles aux patients les plus pauvres de la planète. Le modus operandi consistera à collaborer en priorité avec des organisations et gouvernements des pays en développement.

La Campagne pour l'Accès aux Médicaments Essentiels de MSF a abondamment documenté la crise chronique des maladies négligées et a bien montré que la mise au point de médicaments contre les maladies des plus pauvres est pratiquement au point mort. En l'absence de nouveaux traitements, les médecins n'ont d'autre choix que de continuer à utiliser d'anciens médicaments de moins en moins efficaces en raison du développement de résistances à ces molécules. Les rares médicaments nouveaux produits pour traiter les maladies négligées sont souvent financièrement inabordable et peu adaptés à ceux qui en ont besoin. L'absence d'accès à des options thérapeutiques adéquates pour ces maladies transmissibles, dont la plupart sont des affections tropicales mortelles, a pris les proportions d'une crise.

Après deux années d'études, le Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées a conclu à la nécessité de s'impliquer dans l'action. Relevant le défi, il a élaboré un nouveau modèle de fonctionnement à but non lucratif destiné à stimuler la collaboration aussi bien parmi les pays en développement qu'entre ces pays et les pays développés. Sa conception combine une gestion centralisée, visant à mettre clairement l'accent sur des projets spécifiques, et des mises en œuvre décentralisées sur le modèle des compagnies pharmaceutiques modernes. Cette initiative repose principalement sur le soutien du secteur public, mais il implique aussi des contributions du secteur privé, des Partenaires Fondateurs et du grand public.

Le présent document décrit brièvement **DNDi**, ses objectifs et les conditions de sa réussite.

Au cours des vingt-cinq dernières années, le fossé entre le développement de médicaments contre les maladies tropicales et le développement de médicaments contre les maladies non tropicales s'est encore élargi.

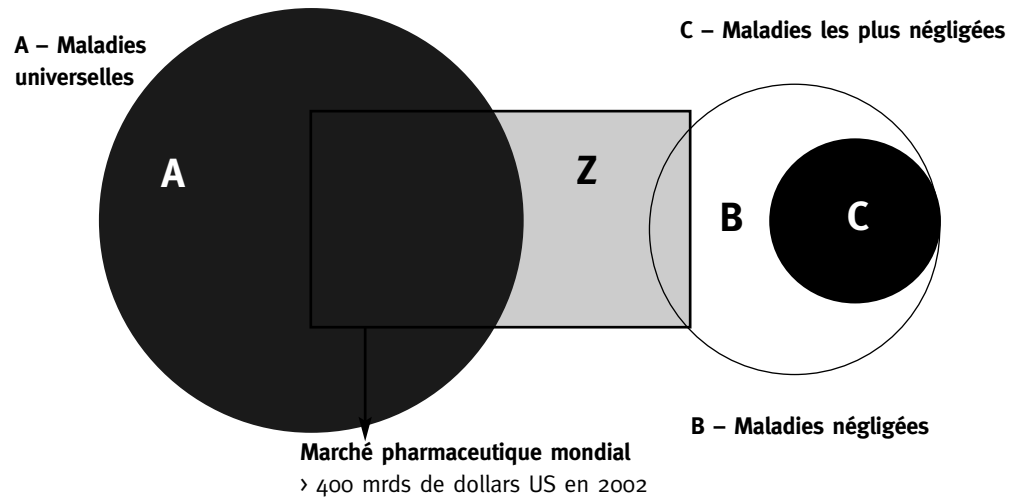
Les maladies tropicales telles que le *paludisme résistant à la chloroquine*, la *leishmaniose viscérale (kala-azar)*, la *filariose lymphatique*, la *maladie de Chagas* et la *schistosomiase* sont toujours à l'origine d'une morbidité et d'une mortalité importantes. Avec la tuberculose, ces maladies au pronostic très lourd peuvent collectivement être qualifiées de « maladies négligées ». Ces maladies sont négligées en raison des mécanismes-mêmes qui soutiennent la R&D de nouveaux médicaments car les patients qui en sont atteints ne représentent pas un marché significatif.

Un pour cent seulement des 1 393 nouveaux médicaments enregistrés au cours de la période 1975-1999 étaient destinés au traitement des maladies tropicales et de la tuberculose, alors que ces affections représentent plus de 10 % de la charge mondiale de morbidité. Sur le plan mondial, pas plus de 10 % des dépenses consenties pour la recherche médicale sont affectés aux maladies qui représentent 90 % de la charge mondiale de morbidité. Et les maladies négligées occupent une part encore plus petite du « gâteau » : sur les 60 à 70 milliards de dollars US dépensés l'an dernier pour la recherche médicale, moins de 0,001 % a été dépensé dans le développement de nouveaux traitements pour cette catégorie de maladies.

Une Disparité Croissante

[1] Le Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées (**Drugs for Neglected Diseases Working Group**) a été créé à l'occasion d'une réunion qui s'est tenue en 1999 à Paris à l'instigation de MSF et du Programme spécial de recherche et de formation sur les maladies tropicales de l'OMS (WHO/TDR). Son mandat était de chercher des approches innovantes permettant de stimuler la R&D sur les maladies négligées et de fournir des médicaments aux patients souffrant de ces maladies. MSF a affecté à l'étude des besoins médicaux de ces patients la totalité du montant reçu à l'occasion du prix Nobel.

Figure 1. Marché pharmaceutique mondial et cibles de la R&D médicale



Légende

A – Les maladies universelles telles que le cancer et les affections cardiovasculaires, métaboliques, osseuses et articulaires touchent toute la population mondiale et mobilisent la majeure partie des efforts de R&D de l'industrie pharmaceutique.

B – Les maladies négligées telles que le paludisme ou la tuberculose affectent principalement les populations des pays pauvres, même si un marché restreint existe dans les pays riches ; de ce fait, les efforts de R&D entrepris pour traiter ces maladies sont faibles.

C – Les maladies les plus négligées touchent presque exclusivement les populations des pays en développement, qui sont trop pauvres pour avoir accès à un quelconque traitement. Comme elles ne représentent pas un marché viable, elles ne sont pas prises en considération dans les efforts de R&D de l'industrie pharmaceutique. Exemples de maladies les plus négligées : la trypanosomiase humaine africaine (communément appelée maladie du sommeil), la trypanosomiase américaine (aussi appelée maladie de Chagas), l'ulcère du Buruli, la dengue, la leishmaniose, la lèpre, la filariose lymphatique et la schistosomiase.

Z (la zone grise) – Elle représente la part du marché pharmaceutique consacrée à des produits destinés à traiter des affections non strictement médicales (notamment la calvitie masculine, les achats compulsifs, le stress et la fatigue due au décalage horaire), mais qui constituent néanmoins un segment très lucratif du marché dans les pays riches.

Malgré un examen scientifique minutieux, les plus négligées de ces maladies (*la trypanosomiase humaine africaine, la leishmaniose et la maladie de Chagas*) ont pour ainsi dire été ignorées par l'industrie pharmaceutique, qui est aujourd'hui la principale source de nouveaux médicaments pour ne pas dire la seule. La plupart des médicaments destinés à combattre ces maladies sont soit trop chers, soit difficiles à administrer, soit toxiques aux doses recommandées, soit de moins en moins efficaces du fait du développement de résistances. Les personnes atteintes de ces maladies n'ont pas les moyens d'acheter les médicaments nécessaires et sont donc hors du champ d'intérêt des compagnies pharmaceutiques.

■ Les raisons de la crise

Le Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées a cherché à connaître les raisons de cette crise chronique et a examiné les solutions et perspectives actuellement envisageables avant de concevoir une approche innovante pour y faire face. La crise de R&D dans le domaine des médicaments pour les maladies négligées n'est pas due à un manque de savoir scientifique, puisque les connaissances dont on dispose sur la biologie, l'immunologie et la génétique des parasites qui sont responsables par exemple de *la trypanosomiase humaine africaine, de la leishmaniose et de la maladie de Chagas* sont nombreuses et enrichies en permanence. En réalité, la crise résulte davantage de l'incapacité du marché et des politiques de santé publique à promouvoir le développement et la production de médicaments pour les maladies négligées.

■ Les réponses actuelles à la crise de la R&D

Incapacité du marché à répondre à la demande : la majeure partie de la R&D pour de nouveaux médicaments se fait dans le monde occidental, et est principalement menée par l'industrie pharmaceutique, dont les agendas de recherche, en grande partie définis par le retour potentiel sur investissement, reflètent les perspectives du marché plutôt que les besoins médicaux. Les populations des pays les plus pauvres ayant un pouvoir d'achat limité, leurs maladies sont ignorées.

Incapacité des politiques de santé publique : les gouvernements sont lents à réagir face à la gravité de ce problème et au manque d'intérêt du secteur privé. Dans les pays industrialisés, les politiques gouvernementales ont depuis toujours organisé les incitations notamment sous la forme de brevets, de crédits d'impôts et de systèmes d'assurance maladie, pour encourager le secteur privé à investir dans la R&D de médicaments. Ces investissements visaient rarement voire jamais les maladies négligées. De plus, ces incitations servent souvent à la mise au point de « me-too drugs » et de médicaments dits « de qualité de vie » pour des affections telles que l'impuissance ou la calvitie.

De leur côté, les gouvernements des pays les moins développés sont confrontés à un manque de ressources financières, à l'absence de volonté d'investir dans un développement à long terme du système de santé, et à l'incapacité de créer des incitations, via les politiques de santé publique, qui favoriseraient une capacité nationale viable pour développer des médicaments.

Ces dernières années, la prise de conscience face à l'absence de traitements efficaces contre les maladies négligées a pris de l'ampleur. Des individus et des groupes de scientifiques, tant dans le secteur privé que dans le secteur public, ont publié des documents et mené un lobbying auprès des gouvernements et de l'industrie pour tenter de faire évoluer le *statu quo*. Diverses organisations ont été créées pour stimuler la R&D et produire des outils thérapeutiques adaptés aux besoins des pays en développement. Cependant, ces efforts n'étaient pas spécifiquement orientés sur les maladies les plus négligées.

Le Programme spécial de recherche et de formation sur les maladies tropicales (TDR) a été créé par le PNUD, la Banque mondiale et l'OMS en 1975 pour répondre aux appels lancés par les pays où les maladies négligées sont endémiques. Le TDR se concentre sur dix maladies tropicales et a une double vocation : d'une part, développer de nouveaux outils et de nouvelles méthodologies pour combattre ces maladies ; d'autre part, créer des capacités de recherche dans les pays en développement afin de permettre à ces derniers de mieux répondre à leurs besoins et de contribuer à des solutions durables. Au cours de ces vingt-cinq dernières années, le TDR a été associé avec succès au développement de plusieurs nouveaux traitements contre des maladies tropicales, mais d'importants besoins médicaux curatifs et préventifs restent encore insatisfaits, notamment dans le domaine des maladies les plus négligées.

Les partenariats entre les secteurs public et privé (PPP) visent à stimuler la R&D sur les maladies négligées en mettant en adéquation les capacités, les compétences et les ressources existantes tant dans le secteur public que dans le secteur privé. Parmi les exemples récents de cette stratégie, citons l'*International AIDS Vaccine Initiative (IAVI)* et la *Medicines for Malaria Venture (MMV)*. Ces projets encouragent les collaborations spécifiques sur tel ou tel produit entre les secteurs public et privé, tout en offrant des subventions et des extensions de brevets en vue de rendre la R&D sur les maladies négligées plus attractive pour l'industrie. Toutefois, les incitations sont axées sur le développement de médicaments pour des maladies pour lesquelles il existe un marché au Nord, telles que le paludisme et la tuberculose. Aucun PPP n'a encore été créé pour mettre au point des médicaments pour traiter les maladies les plus négligées, parce qu'elles ne représentent pas un marché significatif.

L'Approche de DNDi

■ Objectifs et ampleur des activités de DNDi

DNDi a pour but de libérer le développement de médicaments contre les maladies négligées des forces du marché et d'encourager le secteur public à assumer une plus grande responsabilité à cet égard. Elle vise à tirer parti des ressources scientifiques et technologiques des secteurs public et privé en vue de mener un programme de R&D axé sur les besoins en médicaments contre les maladies négligées. Cette approche se reflète dans le processus de fondation de **DNDi**. En effet, actuellement, les Partenaires Fondateurs regroupent Médecins Sans Frontières, l'OMS/TDR, la Fondation Oswaldo Cruz / Far Manguinhos (Brésil), l'*Indian Council of Medical Research* (Inde), l'Institut Pasteur (France) et le Ministère de la santé de la Malaisie. Par ailleurs, un Partenaire Fondateur supplémentaire sera identifié au sein du réseau africain de **DNDi**, et des efforts sont également déployés pour assurer une représentation des patients.

L'objectif principal de **DNDi** est de développer sur une base non lucrative et de rendre disponibles des médicaments contre les maladies négligées. DNDi atteindra cet objectif en élaborant un portefeuille de projets de R&D axés sur les besoins à court, moyen et long terme, en favorisant la prise de conscience à l'égard des maladies négligées et en créant des capacités de R&D dans les pays où ces maladies sont endémiques.

Développer un portefeuille de projets axés sur les besoins : DNDi vise à développer un portefeuille équilibré de projets fondés sur les besoins médicaux des patients négligés et les plus négligés. Une fois les besoins identifiés, elle développera des traitements à partir de médicaments ou composés existants dans le cadre de projets à court et moyen terme, ou utilisera des cibles connues ou nouvellement identifiées pour organiser la recherche sur des composés clés dans le cadre de projets à long terme. Ce portefeuille mixte de projets reflète les lacunes de la R&D en la matière et permettra à cette initiative d'avoir un impact plus rapide et plus tangible.

- **Projets à court et moyen terme (3-6 ans) :** trois IDDP (*Immediate Drug Development Projects*) fondés sur des médicaments ou composés existants ont déjà été lancés et sont menés conjointement avec MSF, le TDR et plusieurs autres partenaires. Il s'agit notamment de la *paromomycine* pour le traitement de la *leishmaniose viscérale* et de deux associations médicamenteuses à dose fixe à base d'*artésunate* pour le traitement du *paludisme résistant à la chloroquine*, pour lesquels les procédures d'enregistrement seront engagées dans les prochaines années. Des discussions sont également en cours pour permettre à **DNDi** de lancer de nouveaux projets à partir de médicaments existants tels que le *nifurtimox* pour le traitement de la *trypanosomiase humaine africaine*. Parmi les autres projets envisageables à court terme, citons notamment la finalisation de dossiers d'enregistrement pour des médicaments existants, la reformulation de médicaments existants pour des groupes spécifiques de patients ou pour des indications spécifiques et le développement d'associations médicamenteuses.
- **Projets à long terme (10-12 ans) :** l'accent sera mis dans un premier temps sur chacun des parasites responsables de la *trypanosomiase humaine africaine*, de la *maladie de Chagas* et de la *leishmaniose viscérale*. **DNDi** cherchera à identifier des cibles possibles, connues ou nouvelles, et travaillera en partenariat avec des organisations qui effectueront les travaux de recherche nécessaires.

L'initiative catalysera et coordonnera la recherche et gèrera les projets de développement de médicaments. Tout en conservant l'initiative et le contrôle sur le processus, elle sous-traitera la plupart des activités de R&D, la découverte, le pré-développement, le développement ainsi que les essais cliniques.

■ Le modèle de fonctionnement

Objectifs du portefeuille de projets

DNDi produira un flux régulier de composés innovants, de nouvelles indications de médicaments existants ou de nouvelles associations médicamenteuses à dose fixe. Concrètement, elle devra lancer chaque année au moins deux nouveaux projets de développement de médicaments. **DNDi** identifiera des projets potentiels tant dans le secteur public que dans le secteur privé qui seront soumis à un Comité Scientifique Consultatif afin qu'il émette des recommandations sur les projets à intégrer ou non au portefeuille.

L'objectif est d'avoir au cours de la douzième année un maximum de dix projets en cours simultanément et d'avoir enregistré six ou sept médicaments, ainsi que de disposer d'un portefeuille équilibré de huit projets. Les chances qu'un projet donné débouche sur l'approbation d'un médicament innovant et prometteur dépendront de la maladie, du médicament et du stade de développement.

Favoriser la prise de conscience : favoriser la prise de conscience face aux besoins de R&D dans le domaine des médicaments pour les maladies négligées est l'une des composantes majeures de la vision de **DNDi**. Cet effort est déjà en cours via des publications, des conférences et des réunions avec des décideurs politiques, des membres de la communauté scientifique, des leaders d'opinion et des représentants de l'industrie. De plus, à mesure que les réseaux **DNDi** deviendront opérationnels, des partenaires régionaux aideront à identifier des projets potentiels. Ils participeront également à la mise en place de projets de développement de médicaments et récolteront des fonds.

Créer des capacités : utiliser les capacités existantes en matière de R&D, contribuer à en développer de nouvelles, stimuler les activités de R&D et favoriser le transfert de technologie vers les pays où ces maladies sont endémiques, tels sont les outils essentiels pour mettre en œuvre la vision de **DNDi**. Ce qui la caractérise et la différencie des initiatives existantes, c'est qu'elle vise à favoriser la collaboration entre concepteurs de médicaments dans les pays en développement. D'autres organisations sont assurément actives dans ce domaine mais il est nécessaire de faire beaucoup plus, compte tenu des besoins énormes et sans cesse croissants en médicaments pour les maladies négligées. **DNDi** collaborera étroitement avec ces organisations afin d'assurer des synergies et d'éviter une concurrence stérile.

L'initiative ne mènera pas par elle-même des travaux de recherche scientifique pour développer des composés, mais elle exploitera les capacités de R&D existantes encore fragmentées, notamment dans les pays en développement, et au besoin les complètera. En tant qu'organisation décentralisée et fonctionnant en réseau, ses frais de structure seront d'autant plus réduits.

DNDi collaborera avec des partenaires dans les pays en développement comme dans les pays développés (établissements publics et universitaires, compagnies pharmaceutiques et biotechnologiques, etc.) et assurera un suivi rigoureux des questions légales (y compris celles ayant trait aux droits de propriété intellectuelle) de manière à garantir en permanence la plus grande accessibilité possible aux résultats du travail de **DNDi** et la plus grande disponibilité possible de ceux-ci.

Partenaires régionaux : les collaborations régionales seront essentielles au succès de **DNDi**. De fait, l'initiative met déjà cette approche collaborative en pratique notamment pour gérer les trois IDDP existants (voir page 6). Parmi les partenaires potentiels figurent des organisations de recherche régionales (ou nationales) clés, des instituts de recherche de pointe, des associations de patients et des fabricants de médicaments.

Ressources Humaines

■ Supervision de la gestion

Dans un premier temps, l'initiative disposera de quatre bureaux régionaux fonctionnant en petites équipes, situés en Amérique du Sud, Asie, Afrique et Europe. Ils assureront la promotion active de **DNDi** et stimuleront le développement des réseaux régionaux, recueilleront des informations sur les compétences et capacités disponibles, ainsi que sur les besoins des patients, et apporteront un soutien aux activités menées dans leurs régions respectives. Une structure de coordination basée à Genève supervisera ces activités.

Questions légales et réglementaires : lorsqu'elle statuera sur les projets, **DNDi** prêtera une attention particulière aux questions de droits de propriété intellectuelle (DPI) et se conformera aux réglementations sur les médicaments.

- **Questions liées aux DPI** : **DNDi** développera une politique en matière de DPI autour des impératifs suivants : développer des médicaments qui soient dans toute la mesure du possible considérés comme des biens publics et veiller à ce qu'ils soient financièrement abordables pour les patients qui en ont besoin. Cette politique devra également tenir compte de l'improbabilité d'un quelconque revenu commercial ainsi que de la participation d'entités du secteur public dans les accords de R&D qui seront conclus. **DNDi** négociera avec les détenteurs de DPI afin d'obtenir les meilleures conditions possibles pour rendre ces médicaments accessibles aux patients.
- **Enregistrement des médicaments** : **DNDi** tiendra compte des exigences en matière d'enregistrement des médicaments dès les premières phases du processus de développement et respectera les normes de bonnes pratiques de laboratoire, cliniques et de fabrication, ainsi que les normes nationales des pays où les médicaments seront enregistrés. En parallèle des règles internationalement acceptées pour la protection des sujets humains ou des patients entrant dans les études, le respect intégral des exigences réglementaires est la première condition à remplir pour satisfaire aux obligations en matière de responsabilité.

DNDi a réuni des membres renommés de la communauté scientifique internationale, ainsi que des personnes se consacrant à la réduction des disparités Nord / Sud. L'organisation se développera par étapes en fonction des besoins en matière de recherche et de mise en œuvre. Actuellement, elle assume la supervision de la gestion, l'identification et la coordination des projets, et leur mise en œuvre.

Cette responsabilité est du ressort des Partenaires Fondateurs, du Conseil d'Administration, du Comité Scientifique Consultatif (CSC), du Groupe de travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées, et des Membres Associés.

Partenaires Fondateurs : six Partenaires Fondateurs ont uni leurs forces pour superviser la phase de démarrage de **DNDi**. Un représentant du réseau africain de **DNDi** et une représentation de patients des pays du Sud seront également intégrés à ce groupe. Chaque membre fournira soit un soutien financier, soit des contributions de recherche en nature, et assurera la représentation et la promotion des intérêts de **DNDi** à l'extérieur. Par ailleurs, ils décideront de la composition du Conseil d'Administration.

Conseil d'Administration : ce conseil sera composé de dix à treize membres et aura pour tâche de veiller à ce que la vision et la mission de **DNDi** soient clairement comprises par l'équipe de gestion et les partenaires. Il nommera le Directeur exécutif, qui à son tour recrutera un Directeur de la R&D et un Directeur de la communication et de la recherche de fonds, ainsi que ses autres collaborateurs directs.

Comité Scientifique Consultatif (CSC) : il s'agit de constituer un groupe de dix à douze scientifiques éminents, issus de pays développés et de pays en développement, réputés pour leurs contributions dans diverses disciplines scientifiques ayant trait à la découverte

et au développement de médicaments. Le CSC appuiera, conseillera et émettra des recommandations sur le choix des projets à l'attention du Conseil d'Administration et du Directeur exécutif.

Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées : cet organe consultatif international de la Campagne MSF pour l'Accès aux Médicaments Essentiels, à l'origine du concept **DNDi**, continuera à stimuler le débat sur des questions importantes et à soutenir les activités de **DNDi**.

Membres Associés : les membres associés seront des instituts universitaires ou publics de recherche, des ONG, des fondations, des contributeurs financiers et des compagnies pharmaceutiques ou biotechnologiques. Leur contribution pourra prendre diverses formes telles qu'un engagement à promouvoir **DNDi**, des contributions en nature, la mise à disposition de connaissances scientifiques pertinentes, une aide active à **DNDi** si nécessaire, etc.

Une fois que **DNDi** aura été constituée en entité légale, le Directeur exécutif aura la charge de créer une équipe de coordination qui définira les priorités dans le développement de médicaments, constituera un portefeuille de projets et gèrera les activités scientifiques et techniques. Une équipe de transition a déjà été constituée et est domiciliée à Genève.

Une fois un projet sélectionné et approuvé par le Conseil d'Administration, le Directeur de la R&D nommera un Directeur de projet qui constituera une équipe chargée de mettre en œuvre le projet en question. Les activités des Directeurs de projets s'inspireront de celles des équipes travaillant dans l'industrie pharmaceutique.

DNDi fera appel à quatre sources principales de financement pour mener à bien ses projets : les fonds institutionnels provenant de pays riches ou de pays touchés par ces maladies, l'Union Européenne, les organisations internationales, la Banque mondiale et les agences des Nations Unies (OMS, PNUD) ; les donateurs privés comme les fondations privées spécialisées ou les grands donateurs individuels ; les Partenaires Fondateurs de **DNDi** ; le grand public.

La stratégie de financement de **DNDi** repose sur le principe que l'initiative restera toujours indépendante et flexible. La recherche de fonds auprès de sources diversifiées permettra d'éviter que des donateurs individuels ne pèsent trop sur les décisions de **DNDi**. Dans la mesure où l'un des objectifs majeurs est de ramener la R&D sur les maladies négligées dans le champ de la responsabilité publique, au moins la moitié de toutes les activités sera financée par des fonds publics. Durant la phase de lancement, les Partenaires Fondateurs contribueront au financement, en particulier pour couvrir les coûts fixes (ressources humaines, frais légaux, etc). Ainsi, MSF a décidé d'affecter des ressources suffisantes pour lancer **DNDi** et en soutenir le fonctionnement pendant les cinq premières années. Pendant cette période, l'initiative commencera progressivement à rechercher des financements auprès de sources publiques et privées pour la mise en œuvre des projets.

Les coûts ont été évalués en fonction de la maladie concernée, du type de projet (court, moyen ou long terme) et du stade de développement du médicament (médicament existant, composé existant ou nouvelle entité chimique). On estime qu'en 2007, lorsque **DNDi** sera arrivée à maturité, les coûts annuels s'élèveront à 25 millions de dollars US, coûts de R&D et fixes compris.

Pour la période de lancement (2003-2004), le budget est d'environ 20 millions de dollars US. Il comprend les coûts fixes et les coûts exceptionnels liés à la création de l'initiative,

■ Identification et coordination des projets

■ Mise en œuvre des projets

Soutien Financier

■ Stratégie de financement

■ Coûts

La Voie du Succès

les frais généraux de l'organisation et les coûts de développement des IDDP et des nouveaux projets sélectionnés.

Sur une période de 12 ans, on peut estimer le budget global à 255 millions de dollars US au minimum pour un résultat potentiel de six ou sept médicaments enregistrés et un portefeuille équilibré de huit projets en cours de développement.

L'initiative sur les Médicaments pour les Maladies Négligées (**DNDi**) cherche à réduire les disparités qui existent entre médicaments et maladies, en donnant la priorité aux besoins plutôt qu'à la rentabilité. Le but est simple mais la voie menant au succès est semée de difficultés et de défis à relever. Consciente de ces obstacles, **DNDi** s'efforcera néanmoins de rendre les médicaments disponibles et financièrement abordables pour les gens atteints de maladies longtemps négligées par l'industrie pharmaceutique. Elle favorisera la prise de conscience à l'égard de ces maladies dont *la leishmaniose, la trypanosomiase humaine africaine, la maladie de Chagas* et d'autres maladies négligées, elle créera des capacités de R&D dans les pays en développement et catalysera le transfert de technologie vers ces pays. Ce n'est qu'à travers une collaboration mondiale entre pays développés et pays en développement que **DNDi** pourra remplir sa mission.

Le succès de la réponse qui sera apportée aux besoins en matière de R&D sur les maladies les plus négligées des patients les plus négligés dépendra du dévouement d'un groupe d'individus pour qui le bénéfice financier est sans importance en regard du prix de la vie humaine.

L'Equipe de Planification

Membres du Groupe de Pilotage :

Michèle Boccoz, Institut Pasteur ; *Yves Champey*, Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées et directeur du projet DNDi ; *Eloan Dos Santos Pinheiro*, Far Manguinhos – Brésil ; *Nirmal Ganguly*, Indian Council of Medical Research – Inde ; *Visweswaran Navaratnam*, Universiti Sains Malaysia – Malaisie ; *Piero Olliaro*, OMS/TDR – Suisse ; *James Orbinski*, Université de Toronto – Canada et co-président du Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées ; *Bernard Pécoul*, Campagne MSF pour l'Accès aux Médicaments Essentiels ; *Rob Ridley*, OMS/TDR – Suisse ; *Els Torreele*, Epicentre/MSF – France-Belgique et co-présidente du Groupe de Travail sur les Médicaments pour les Maladies Négligées ; *Monique Wasunna*, Kenya Medical Research Institute – Kenya ; *Dyann Wirth*, professeure à l'Ecole de Santé Publique de Harvard – Etats-Unis.

Avec le soutien de l'équipe d'Ernst & Young France :

Philippe-Henri Dutheil, *Philippe Grand*, *Ghislain de Jamblinne*, *Sandrine Marion*, *Laurent Monnet*, *Thomas Saugnac*.

Contributions additionnelles de :

Christopher Garrison, Campagne MSF pour l'Accès aux Médicaments Essentiels, Royaume-Uni ; *Hellen Gelband*, Health Technology Consulting, Etats-Unis ; *Dominique Legros*, Epicentre, France ; *Bruce Mahin*, MSF, France ; *Vasantha Muthuswamy*, Indian Council of Medical Research, Inde ; *Fawzia Rasheed*, consultant, Suisse ; *Giorgio Roscigno*, GATB, Belgique ; *Ellen't Hoen*, Campagne MSF pour l'Accès aux Médicaments Essentiels, France ; *Patrice Trouiller*, CHU de Grenoble, France ; *George Tyler*, consultant en santé publique, Etats-Unis ; *Ali Zumla*, University College of London, Royaume-Uni.

Contributions de l'équipe MSF :

Jaya Banerji, *Nathalie Bergeret*, *Daniel Berman*, *Ingrid Cox*, *Laura Hakoköngäs*, *Nathan Ford*, *Isabelle Saussereau*, *Laure Bonnevie*.

Glossaire des maladies

- **Leishmaniose (kala-azar)**

La leishmaniose est une maladie tropicale répandue dans 88 pays. On estime qu'elle touche actuellement 12 millions de personnes dans le monde. 200 millions de personnes, principalement au Bangladesh, au Brésil, en Inde, au Népal et au Soudan, sont considérées comme population à risque. Cette maladie se transmet par la piqûre d'un phlébotome et présente trois formes, dont la plus grave est la leishmaniose viscérale qui s'accompagne d'une hypertrophie de l'abdomen, de la rate et du foie, de fièvre, de diarrhée et d'anorexie. Elle est mortelle si elle n'est pas soignée. En l'absence de traitement, les 500 000 personnes touchées chaque année par cette forme de leishmaniose mourront sans aucune exception.

Cette maladie se manifeste aussi dans le sud de l'Europe, où l'on a diagnostiqué jusqu'au début 1999, chez 1 600 personnes, une leishmaniose associée au VIH.

- **Trypanosomiase humaine africaine (maladie du sommeil)**

La trypanosomiase humaine africaine est une maladie tropicale transmise par les piqûres de mouches tsé-tsé infectées. 500 000 personnes en sont actuellement atteintes dans 36 pays africains, et 60 millions de personnes y sont exposées. Cette maladie qui avait presque été éradiquée dans les années 60 a fait sa réapparition dans les régions marécageuses isolées de l'Afrique subsaharienne, à la faveur de conflits armés et du manque de ressources humaines et financières. Dans les années 90, MSF a constaté que jusqu'à 70% des habitants de certains villages du Congo étaient infectés.

Les médicaments disponibles pour traiter la trypanosomiase humaine africaine sont rares et toxiques. De plus, le parasite y est de plus en plus résistant. La première phase de la maladie passe souvent inaperçue. La seconde phase, en revanche, est caractérisée par des symptômes neurologiques et, en l'absence de traitement, elle entraîne un état d'extrême fatigue et de somnolence, le coma, puis la mort.

- **Maladie de Chagas**

Endémique en Amérique centrale et du Sud, le parasite responsable de la maladie de Chagas (*Trypanosoma cruzi*) se transmet par transfusion sanguine ou par la piqûre et les déjections du triatome, une punaise que l'on appelle communément « l'insecte amoureux » en raison de sa tendance à piquer sur le pourtour des lèvres. On estime à 16-18 millions le nombre de personnes infectées par le Chagas et à une centaine de millions le nombre de personnes à risque dans 21 pays, soit à peu près 25% de la population d'Amérique latine.

Les symptômes aigus de la maladie de Chagas ne se manifestent que dans 1% des cas environ, une à deux semaines après l'infection ; il peut s'agir de fièvre, d'un œdème autour de la piqûre et d'un gonflement des ganglions lymphatiques, qui deviennent douloureux. Ces symptômes durent généralement de 4 à 8 semaines, puis disparaissent. Environ un tiers des cas aigus développent la forme chronique de la maladie entre dix et vingt ans après l'infection. La forme chronique entraîne des problèmes cardiaques tels qu'hypertrophie du cœur, arythmie, insuffisance cardiaque ou un arrêt cardiaque. Dans les cas chroniques graves, elle provoque la mort. Aucun des traitements existants n'est suffisamment efficace pour traiter les malades chroniques, enfants et adultes.

DRDND

**drugs for neglected
diseases initiative**
(Une Initiative pour les Médicaments pour les Maladies Négligées)

Document
provisoire

Adresse temporaire :
s/c Campagne pour l'Accès aux
Médicaments Essentiels
Médecins Sans Frontières
Rue du Lac 12
CP 6090
1211 Genève 06, Suisse

Tel : +41 22 849 84 05

Fax : +41 22 849 84 04

Email : access@geneva.msf.org

<http://www.accessmed-msf.org>