

# 戦略計画2021 – 2028

## 概要

DNDi (Drugs for Neglected Diseases *initiative* 顧みられない病気の新薬開発イニシアティブ) は、最も顧みられない病気に苦しむ患者に、安全で有効かつ手頃な価格の治療薬を発見、開発、および提供する国際的な非営利組織です。

私たちはイノベーション、オープンサイエンス、パートナーシップ、およびアドボカシーの力を利用し、貧しい人々や社会から取り残された人々にとりわけ大きな影響を与える、生命を脅かす病気の治療薬の不足という大きな不正に対する解決策を見つけます。

私たちは研究開発 (R&D) パートナーシップを通じ、これまでに5つの致命的な病気に対し、現場に適した手頃な価格の8種類の治療薬・治療法を提供し、数百万人の命を救いました。

私たちの新しい戦略計画は、2028年までの8年間の道のりを示すものであり、設立から最初の25年間で25種類の新しい治療薬・治療法を提供することを目指しています。

### DNDiは、最も顧みられない患者のための最良の科学をどのように進歩させるのでしょうか？

#### 命を救うイノベーション



顧みられない病気に苦しむ患者のために緊急に必要な治療薬・治療法を発見・開発し、それらが手頃な価格で確実に利用可能となり、必要とする人々に届けられるよう取り組みます

#### 持続可能なソリューション



低所得国のパートナーと協力し、私たちの進歩を促進し、人々のニーズを最優先するイノベーションエコシステムを強化します

#### 政策転換へのアドボカシー



より効果的で公平な研究開発を可能にし、収入や住む場所に関係なく、すべての人々が科学の成果にアクセスできるようにするための政策変更を求めて声を挙げます

DNDiは、40ヵ国以上の200以上のパートナーと、さまざまなR&D コラボレーションを構築し、競争ではなくコラボレーションによって、そして利益ではなく患者のニーズによって推進される科学を追求すべく団結してきました。独自の研究施設や製造施設を持たず、創業および前臨床研究から臨床試験およびアクセスまで、私たちは研究開発プロセスのすべての段階で「仮想オーケストラの指揮者」としての役割を果たします。2003年の設立以来、アライアンスを構築し、セクターを超えたネットワークを強化して、命を救う医療イノベーションを提供してきました。

この戦略計画の期間中、私たちは低所得国 (LMICs) における活動範囲を拡大し、持続可能なソリューションを促進します。すなわち、パートナーシップと業界ネットワークを拡大して、人々のニーズを最優先し、test-and-treat (T&T: 検査と治療) アプローチを加速するイノベーションエコシステムを強化し、医療への公平なアクセスを担保します。また今後もオープンサイエンスと透明性を推進していきます。

私たちの進歩は、ユニバーサル・ヘルス・カバレッジを含む持続可能な開発目標 (SDGs) の達成に直接貢献します。

#### 命を救うイノベーション

アライアンスと豊富な新薬候補のポートフォリオを活用し、2021年から2028年の間に15~18種類の新しい治療薬・治療法を提供します。

DNDiは、顧みられない熱帯病 (NTDs) やウイルス性疾患で苦しむ患者のニーズを優先していきます。なぜならこれらの疾患は、すでに脆弱で顧みられていないコミュニティにとりわけ大きな犠牲を強いているからです。また、今後大流行を起こす可能性のある感染症や、気候変動に影響される病気への対応も行います。私たちの取り組みは、母子の健康およびジェンダーに対応した研究開発のためのアジェンダを積極的に推進し、研究開発とアクセスを加速するための新しいテクノロジーを活用するという私たちの決意によって支えられています。

# コミットメント：2021－2028

2021



2028

## 15～18種類の新規の治療薬・治療法を提供します

現在の充実したポートフォリオから10～12種類の新しい治療薬・治療法を提供する（2021－24年）

初期段階の新規化合物（NCEs）から5～7種類の新しい治療薬・治療法の提供とポートフォリオの拡充を行う（2025－28年）

## 5つの横断的な戦略上の優先事項に焦点を当てます



大流行を起こすあるいは気候変動に影響される病気を含む、NTDs及びウイルス性疾患における研究開発ギャップに対処することにより、新しい治療薬・治療法を提供し、顧みられない病気に苦しむ患者のアクセスを拡大します



低中所得国の公衆衛生におけるリーダーやR&Dパートナーと協力し、顧みられない病気に苦しむ患者のニーズに対応する持続可能なイノベーションエコシステムを推進します



母子の健康とジェンダーに対応した研究開発のための積極的なアジェンダの構築に貢献します



オープンサイエンスと透明性を擁護します



新しいテクノロジーを活用して、研究開発とアクセスを加速します

## 私たちの使命の3つの柱のすべてにわたり、影響を推進します



### 命を救う イノベーション

- 15～18種類の新しい治療薬・治療法を提供
- 創薬の取り組みから8～10種類の新薬候補を特定
- 小児用の適応症について少なくとも6つの新しい研究を実施
- 新しい治療薬・治療法への公平で手頃な価格のアクセスを担保するため、対象となる疾患と国ごとの特定のニーズに合わせた戦略計画を提案



### 持続可能な ソリューション

- 低中所得国における「エンドツーエンド（創薬からアクセスまで）」のR&Dパートナーシップを拡大
- 低中所得国の製薬企業およびその他のパートナーとの積極的な協力
- 初めてヒトに使用する第I相試験の半分を低中所得国で実施
- 毎年600～1,000人の最前線の臨床医と研究者を対象にトレーニングを実施



### 政策転換への アドボカシー

- イノベーションシステムをよりニーズ主導型、協調的、公平、オープンかつ透明、包括的、そして持続可能なものにするために、主要方針の具体的な転換を実現する
- 50以上の戦略的アドボカシーパートナーとさらに連携を深め、より効果的な影響力のあるネットワークを構築する
- DNDiモデルから得た重要な教訓をまとめ、広く共有する

DNDiは、2021年から2028年の間に15~18種類の新しい治療薬・治療法を提供し、設立後、25年間で合計25種類の新しい治療薬・治療法を提供します

|  | 2021-2024   | 2025-2028 |
|--|---|-----------|
|  <p><b>アフリカ睡眠病 確実な病気の制圧を加速する</b><br/>           ▶ 画期的な単回経口治療薬 ▶ 小児のための新しい治療薬 ▶ 患者は少ないものの急性の病型 (T.b. rhodesiense) の新しい治療薬 ▶ 簡便な検査と治療へのアクセスを促進</p>  |    |           |
|  <p><b>リーシュマニア症</b><br/>           より安全で簡易な治療薬・治療法を提供することにより、命を救い、社会的差別を軽減する<br/>           ▶ 内臓リーシュマニア症 (VL) と HIV の重複感染、東アフリカとラテンアメリカの VL、カラ・アザール後皮膚リーシュマニア症 (PKDL)、および皮膚リーシュマニア症 (CL) のための5種類の新しい短期治療法 ▶ 小児適応の VL 臨床試験への小児の参加 ▶ 第Ⅲ相試験に進んだ新規化合物を用いた2剤併用経口療法；臨床開発に進んだ CL 用の免疫調節剤 ▶ 迅速な診断と新しい治療薬・治療法への手頃な価格でのアクセス担保</p> |    |           |
|  <p><b>シャーガス病 公衆衛生上の問題としてのシャーガス病の制圧に貢献する</b><br/>           ▶ ベンズニダゾールをベースにしたより安全で短期の治療 ▶ 新規化合物の臨床試験実施；少なくとも1種類の化合物の第Ⅲ相試験開始 ▶ 有効な治癒判定法の開発を支援し、臨床試験と規制当局による承認を加速 ▶ 母子感染を減らし、検査と治療のセット展開を促進</p>   |    |           |
|  <p><b>フィラリア症：河川盲目症 感染のサイクルを断ち切ることに向けて前進する</b><br/>           ▶ フィラリア成虫を恒久的に駆除することができる新薬候補を特定するための第Ⅱ相試験と、単剤または薬剤併用による第Ⅲ相試験の開始 ▶ 小児適応の臨床試験への小児の参加</p>  |    |           |
|  <p><b>マイセトーマ (菌腫) 悲惨な四肢切断と障害を防ぐ</b><br/>           ▶ マイセトーマの新しい治療薬の開発 ▶ 必要としているすべての人々への確実な治療機会の提供</p>  |  |           |
|  <p><b>HIV 小児や進行期 HIV 感染者に対し、命を救う治療へのアクセスを担保する</b><br/>           ▶ 投与が簡単で子どもが服用しやすい「4-in-1 (4剤配合)」治療製剤 ▶ 新しい小児用製剤 (DNDi 開発薬剤およびその他の薬剤の両方) へのアクセスを促進 ▶ 進行期 HIV 患者の主要な死因であるクリプトコッカス性髄膜炎の治療の改善 ▶ 深刻な HIV 関連の日和見感染 (進行期 HIV) および新生児、小児および青年期患者の HIV 治療における、顧みられない R&amp;D ニーズに対する DNDi の役割の特定</p>                        |  |           |
|  <p><b>肝炎 治療を待つ何百万もの人々のために、治療が現実のものになる手助けをする</b><br/>           ▶ 使いやすく手頃な価格の C 型肝炎の治療薬 ▶ C 型肝炎の治療へのアクセスを促進 (DNDi 開発薬およびその他の薬剤の両方) ▶ B 型および E 型肝炎の顧みられない R&amp;D ニーズに対する DNDi の役割の特定</p>  |  |           |
|  <p><b>新型コロナウイルス (COVID-19) 感染症および大流行発生の可能性がある病気</b><br/>           医療資源が限られた環境の中で命を救うための検査と治療を加速するツール<br/>           ▶ 軽度から中等度の COVID-19 の治療法を研究 ▶ 大流行への備えと対応を支援するための創薬と臨床研究における DNDi の役割の特定</p>   |  |           |
|  <p><b>新規領域</b><br/>           未検討の顧みられない領域を調査し、DNDi が関与すべきかどうか、またどのように関与すべきかを評価する<br/>           ▶ デング熱、ヘビ咬傷、住血吸虫症など、DNDi のポートフォリオに参入する可能性のある新しい疾患候補の中から、実現可能性を評価し、治療開発の優先順位に基づき選択</p>   |  |           |

● 研究開発    ● アクセスとアドボカシー    ▲ 新規治療薬・治療法の提供    ○ 例示

新規治療薬・治療法は、新規の承認、既存の承認下での適応拡大、または新しい治療ガイドラインの策定を実現するプロジェクトの結果によるものです。

## 持続可能なソリューション

研究開発が顧みられない病気に苦しむ患者のニーズを満たすよう変革する可能性を持った新しいイノベーションエコシステムは、低中所得国の科学および公衆衛生分野のリーダーたちが形成しています。**私たちのパートナーシップは、この歩みを応援し、加速させていきます。**

私たちのチームは、顧みられない病気に苦しむ患者のニーズを把握できる立場にあることを一層活用し、これまでの関係で積み上げてきた既存のおよび成長中の低中所得国の産業、規制、および臨床試験の能力を最大限に活用するよう取り組んでいます。

パートナーと協力し、低中所得国での活動範囲を拡大することで、次のことを目指しています。

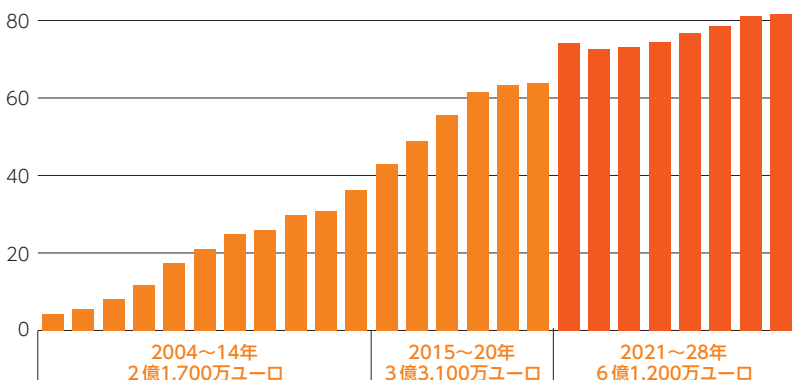
- 研究開発へのより効果的で公平なアプローチのために、**公的リーダーシップ**を奨励する
- 低中所得国における**臨床研究ネットワークと「リード化合物最適化」プログラム**を維持および拡大する
- 低中所得国の**製薬企業とのパートナーシップ**を深化させ、持続可能な生産と供給を担保する
- **ヒトを対象とした第Ⅰ相試験のうち、少なくとも50%**を低中所得国で実施する
- 第Ⅱ～Ⅳ相試験における厳格な品質管理を維持するために、必要に応じた**トレーニングと施設のアップグレード**を促進する

## 政策転換へのアドボカシー

DNDiの重要な使命の1つは、公的な責任を促進し、イノベーションとアクセスの両方を提供する、生物医学におけるより効果的で公平な世界規模の研究開発システムを実現する公共政策を提唱していくことです。

DNDiは、システムの変革を推進するための政治的リーダーシップの必要性を引き続き強調します。特にオープンナレッジイノベーション、持続可能で公平な資金調達モデル、公衆衛生的見地からの知的財産権と公平なライセンス条件、R&Dデータとコストの透明性、新しいテクノロジーを活用するR&Dアプローチ、および患者のアクセスを促進するための革新的な規制ルートの使用について、**私たち自身の経験を記録することにより、変化の実績を積み重ねてゆきます。**

## 25年間で25種類の治療開発を達成するための6億1,200万ユーロの追加資金



## 私たちの目標を実現する力

DNDiの使命とプログラムの成功の中心は、多様な職員と包括的な文化です。低中所得国で働くスタッフ、管理職、およびパートナーは、その成功に不可欠です。低中所得国のDNDi地域事務所では現在、全労働力の40%を雇用しており、2028年までに50%に拡大する予定です。これには、上級管理職の割合の増加も含まれます。

これまでの連携で得られた経験を基に、業界、公衆衛生の専門家、および学界との戦略的パートナーシップを促進すると同時に、AIをサポート技術として利用するなど、業務の効率を改善し、研究開発プロセスを加速する**新しい技術を採用します**。少なくとも5つのグローバル製薬パートナーとの長期的な戦略的提携を進める一方で、低中所得国における中小製薬企業とのパートナーシップを拡大します。

私たちは二酸化炭素排出量を制限し、可能な限り医薬品開発プロセスを「グリーン化」することにより、**気候変動の緩和に貢献し**、2028年までに環境への影響を少なくとも30%削減します。

私たちは、**2021年から2028年までに6億1,200万ユーロ**（すでに確保した1億3,600万ユーロを含む）を調達するため、**政府、他の資金提供機関、および民間慈善団体の支援を求めます**。エビデンスに基づく意思決定を強化し、社会的ミッション（研究開発、低中所得国パートナーシップ、アドボカシー）以外の経費を抑えて最適な効率を維持しながら、コストパフォーマンスを実証するために、モニタリング・評価（M&E）システムを強化します。

### インパクトをもたらす活動に資金を活用します

私たちは、顧みられない病気に苦しむ患者の利益を最大化するため、社会的ミッション以外の経費を低く抑えています。社会的ミッションに直接関係する活動の比率を、平均87%であったこの数年間と同様に保つことを目指しています。

