


ALGO MEJOR QUE LA ESPERANZA

Ahora mismo.

CIRM
AGENCIA DE CÉLULA / MADRE DE CALIFORNIA

Informe anual de **2018**

Cada momento cuenta. **No se detengan** ahora.



Acelerar los tratamientos
con células madre para
pacientes con necesidades
médicas no cubiertas.

Misión

Con nuestra ayuda, las buenas ideas tienen el poder de transformar la medicina, las vidas y el futuro.

Se necesita compromiso y valor para desafiar lo que hemos hecho antes, para exigirnos más, para avanzar constantemente hacia la meta de cumplir nuestra misión.

Porque cada momento cuenta.

Ahora mismo.

En CIRM, nunca nos olvidamos de que el pueblo de California nos creó cuando aprobó la Proposición 71 en 2004, que autorizó el uso de \$3 mil millones de dólares para financiar la investigación de células madre en nuestro estado.

Para enfrentar este desafío, nuestro equipo de profesionales altamente capacitados y experimentados colabora activamente, tanto con el ámbito académico como con la industria, en un entorno práctico y empresarial, para acelerar el desarrollo de las más prometedoras tecnologías de células madre.

CIRM se compromete a lograr su misión por medio de la financiación oportuna y eficaz de proyectos de alta calidad con células madre y la aceleración de la entrega de los tratamientos y curas resultantes para los pacientes que los necesitan.

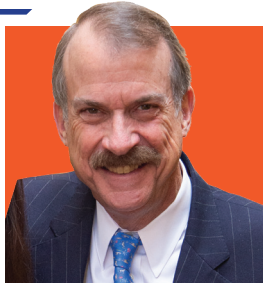
Para obtener información adicional, visite www.cirm.ca.gov

La Dra. Tippi MacKenzie, arriba y en la portada, está creando una técnica para tratar la talasemia alfa mayor, una enfermedad sanguínea mortal. Ella llevó a cabo el primer trasplante de células madre dentro del útero. Vea la página 2 para obtener información adicional.

Estimados compatriotas californianos,

Rememorando 2018, he estado reflexionando sobre nuestros logros y me asombra cuánto hemos avanzado. Cada uno de los investigadores, científicos clínicos, defensores de pacientes e instituciones que hemos respaldado debe sentirse orgulloso.

Hasta la fecha, hemos invertido casi \$2,600 millones de dólares en el potencial de las personas. Nos hemos asegurado de respaldar y financiar las mentes más brillantes de esta generación para dar forma a la siguiente frontera de la medicina.



En 2004, cuando los votantes de California nos encomendaron la labor de liderar el trabajo a nivel estatal de acelerar la investigación de las células madre, nunca nos hubiésemos imaginado

que financiaríamos exitosamente 50 ensayos clínicos ni que respaldaríamos 1000 proyectos.

Pero estamos haciendo mucho más que financiar la investigación que puede llevar a nuevos tratamientos. También estamos creando la infraestructura necesaria para que esos tratamientos lleguen a los pacientes de una manera segura y eficaz. Nuestra red de exclusivas clínicas "Alpha" de células madre de CIRM proporciona a los pacientes acceso a terapias innovadoras respaldadas por la investigación científica comprobada y proporcionadas por expertos en el campo. Comparemos esto con la cantidad cada vez mayor de médicos de Estados Unidos que ofrecen terapias no comprobadas o aprobadas que ponen en peligro a los pacientes, quienes pagan miles de dólares por tratamientos que nunca han demostrado dar buenos resultados.

Nuestro compromiso con nuestros pacientes y el pueblo de California nos ha ayudado a convertir nuestro estado en un líder global de la medicina regenerativa.

Esto es y siempre ha sido la promesa de CIRM: tomar el potencial de la investigación de las células madre y convertirlo en realidad. Y la estamos cumpliendo.

Jonathan Thomas
 Jonathan Thomas, Ph.D., J.D.
 Presidente, consejo directivo de CIRM

Estimados amigos,

Ahora que comienza el año 2019, nos complace la cantidad cada vez mayor de tratamientos médicos transformadores en el horizonte que CIRM ha hecho posibles.



Hace casi 15 años, los contribuyentes californianos nos confiaron \$3 mil millones de dólares para navegar lo desconocido, para llevar la ciencia de las células madre del laboratorio de investigación al lecho del paciente. Hoy en día,

California es líder en medicina regenerativa, habiendo creado un robusto ecosistema que ha transformado la comunidad investigativa global.

La misión de CIRM es acelerar los tratamientos con células madre para pacientes con necesidades médicas no cubiertas. Estos son pacientes como la bebé Elianna, en la página 2. Mientras aún estaba en el vientre materno, Eliana fue tratada con células madre por un trastorno sanguíneo potencialmente mortal. Ronnie (página 15), que nació con lo que previamente se consideraba un trastorno inmune mortal, está actualmente vivo y sigue creciendo. Estas historias nos inspiran y motivan para continuar, basándonos en los grandes avances que ya ha logrado CIRM.

Como leerá en este informe anual, los programas de CIRM han atraído asociaciones industriales importantes y participación internacional. Otras organizaciones reconocen el modelo de aceleración de CIRM, incluso los Institutos Nacionales de Salud, que se unieron a nosotros con el propósito de encontrar una cura para la enfermedad de células falciformes.

Cuando financiamos a investigadores, sentamos las bases para los tratamientos. Cuando respaldamos este trabajo, conectamos a investigadores, pacientes, grupos de pacientes, legisladores e inversores en todo el país y todo el mundo.

En CIRM, respetamos profundamente la urgencia de nuestra misión y estamos comprometidos a cumplir nuestra promesa de acelerar los tratamientos con células madre para los pacientes, aliviar el sufrimiento y mejorar la vida de millones de californianos y personas de todo el mundo.

¡Cada momento cuenta, y no descansaremos! Nuestro compromiso es más fuerte que nunca.

Maria T. Millan
 Maria T. Millan, M.D.
 Presidente y directora ejecutiva

Primer trasplante mundial de células madre dentro del útero

Operar a un bebé siempre es un asunto delicado, pero hacerlo mientras está en el vientre de su madre requiere los más altos niveles de destreza y cuidado.

La Dra. Tippi MacKenzie, de la Universidad de California en San Francisco (University of California, San Francisco) (UCSF), una cirujana e investigadora pediátrica que CIRM financió durante las etapas iniciales de una investigación básica, ha creado una manera de tratar la talasemia alfa mayor, una enfermedad sanguínea que frecuentemente resulta en la muerte del feto. Con esta técnica innovadora, se trata al bebé antes del nacimiento.

Utilizando el nuevo enfoque de la Dra. MacKenzie, se introducen en el bebé en desarrollo células madre de la médula espinal de la madre, que tienen el poder de convertirse en cualquier tipo de glóbulo. Luego, estas células madre maduran y pueden convertirse en glóbulos sanos. En el útero, es más probable que el sistema inmune del bebé acepte las células de la madre como propias.

Nacida en febrero de 2018, Elianna es la primera niña del mundo que ha recibido terapia con células madre dentro del útero para tratar una talasemia alfa mayor. La información adquirida de este primer ensayo es un paso importante para el descubrimiento de una cura para los bebés con esta enfermedad mortal.

Mejores que la esperanza, las curas son inevitables

Con la creación de CIRM, el pueblo de California nos permitió trabajar de maneras que no eran posibles para ningún otro organismo estatal, atrayendo el más avanzado conocimiento científico al estado, con la meta de aumentar el acceso de todos los californianos a los avances médicos más innovadores.

Hoy en día, California lidera el campo emergente de la medicina regenerativa, lanzando terapias que han curado a niños de enfermedades de inmunodeficiencia, mejorado la función de jóvenes paralizados y dándoles una segunda oportunidad a pacientes con cáncer de riñón o pulmón. Si bien en el pasado había solo esperanza, ahora sabemos que las curas son inminentes.

Ofreciéndonos algo mejor que la esperanza, CIRM está impulsando curas para algunos de los problemas de salud y enfermedades más difíciles, tales como la diabetes, los trastornos sanguíneos, la ceguera, la parálisis y el cáncer.

Elianna y su madre, Nichelle Obar, después del primer trasplante mundial de células madre dentro del útero, en UCSF, en febrero de 2018. La foto es cortesía de Barbara Ries para UCSF.

Algo
mejor que la
esperanza.

Ahora mismo.

Enfoque innovador

CIRM creó un nuevo modelo para impulsar los avances médicos y científicos.

Ofreciéndonos algo mejor que la esperanza, el enfoque de CIRM produce resultados.

Como organización **financiada por el estado** y creada para respaldar programas y curas por medio de la medicina regenerativa basada en células, CIRM es única. Proporcionando no solo financiación sino también **respaldo, guía, asesoramiento y experiencia** a los proyectos, nos hemos convertido en un acelerador de la ciencia médica. Nuestra **financiación inicial** para proyectos científicos prometedores permite que los investigadores demuestren que sus proyectos tienen potencial, lo cual les ofrece a los inversores de capital de riesgo y a otros la oportunidad de invertir seguramente en ciencias revolucionarias. Además, los pacientes y **sus defensores participan en todo** lo que hacemos. Ellos recuerdan todos los días el motivo que impulsa nuestra labor y por qué no debemos detenernos.

CIRM es el líder mundial en medicina regenerativa. Nuestras inversiones estratégicas en **iniciativas educacionales**, de infraestructura e investigación (exhibidas en la siguiente página), crean el marco para una nueva era en la medicina. Nuestra participación en la **comunidad** y en **instituciones públicas** (como los Institutos Nacionales de Salud), asegura la participación del público. Trabajar en estrecha colaboración con la **industria privada** nos ayuda a atraer recursos, talento y más inversión para California.

Público

CIRM y los Institutos Nacionales de Salud

En 2018, CIRM celebró un contrato fundamental con el **Instituto Nacional del Corazón, Pulmón y Sangre**, el cual implementará la experiencia, la infraestructura y los procesos de financiación comprobados de CIRM para respaldar financieramente y acelerar los más prometedores enfoques de medicina regenerativa, con el propósito de curar la enfermedad de células falciformes, que afecta a 100 mil estadounidenses y a millones de personas en todo el mundo.



Institutos Nacionales de Salud

Privado

Sentando las bases para la industria privada

La experiencia de CIRM ayuda a “minimizar el riesgo” de las nuevas compañías biotecnológicas y les provee a los financistas privados la seguridad necesaria para invertir en las mismas. Por ejemplo, **Forty Seven Inc.**, basada en Menlo Park, surgió de la investigación de la Universidad de Stanford (Stanford University) y ahora está elaborando terapias con células madre para diferentes tipos de cánceres sanguíneos y sólidos. La compañía ha logrado obtener una financiación de seguimiento y empezó a cotizar en bolsa en 2018. De manera similar, **Orchard Therapeutics** comenzó con un programa principal de terapia genética financiada por CIRM para la inmunodeficiencia combinada grave (SCID). Esta le permitió obtener inversiones privadas, expandir su cartera de terapias genéticas y establecer una oficina y centros de fabricación en California. Esta empresa también comenzó a cotizar en bolsa en 2018.



FORTY SEVEN



Orchard therapeutics

Inversiones estratégicas

CIRM respalda la educación y la investigación a varios niveles de desarrollo, desde la construcción de infraestructura hasta los ensayos clínicos, que colectivamente forman un “ecosistema” único de medicina regenerativa en California.



Educación

\$110 mil dólares en 2018

(\$219 millones hasta la fecha)

CIRM respalda programas para capacitar a estudiantes de la escuela secundaria y universitarios – la próxima generación de científicos de células madre – a fin de fomentar el acto de compartir conocimiento, fomentar el campo y desarrollar un canal de talento para la industria de células madre de California.



Infraestructura

\$0 en 2018

(\$482 millones hasta la fecha)

El programa de infraestructura de CIRM construye centros reales y virtuales que proveen la experiencia, la información y los recursos necesarios para fomentar eficazmente la misión de CIRM.



Descubrimiento

\$17.4 millones en 2018

(\$905 millones hasta la fecha)

Respaldamos e invertimos en los descubrimientos (investigación básica o de etapa inicial) que exploran nuevos e innovadores tratamientos y tecnologías para células madre.



Traslacional

\$27.6 millones en 2018

(\$343 millones hasta la fecha)

CIRM toma los mejores candidatos para la terapia, que se identifican a través de la investigación, y los respalda durante los pasos decisivos necesarios para avanzar hacia la etapa de desarrollo clínico.



Clínico

\$100.5 millones en 2018

(\$647 millones hasta la fecha)

Estamos creando una cartera de terapias de primera categoría, respaldada por recursos únicos, para aumentar las posibilidades de éxito en la fase clínica de la investigación. Financiamos el riguroso trabajo necesario para preparar los tratamientos con células madre, a fin de probarlos en pacientes de una manera aceptable para la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration) (FDA). Luego, respaldamos la prueba clínica de estos tratamientos para determinar su seguridad y eficacia en los pacientes.

Algo
**mejor que la
 esperanza.**

Ahora mismo.

Impulsando la industria y las inversiones

CIRM está estableciendo asociaciones estratégicas colaborando con la industria privada.

Respaldando programas prometedores de investigación, CIRM ha logrado atraer algunos de los más avanzados conocimientos científicos a California, lo cual ha atraído importantes inversiones científicas y comerciales adicionales al estado.

Entre 2015 y 2018, los patrocinadores privados siguieron el ejemplo de CIRM e invirtieron \$1.64 mil millones de dólares en proyectos respaldados por CIRM.

Se invirtieron más de \$1,000 millones de dólares solo en 2018, duplicando todas las inversiones realizadas en los tres años anteriores.

De hecho, se han apalancado \$2.6 mil millones de dólares en otorgamientos de CIRM hasta la fecha, lo cual ha logrado conseguir \$3.2 mil millones de dólares adicionales en inversiones y fondos complementarios de otras fuentes.

Fondos apalancados hasta la fecha: \$3.2 mil millones para los programas pasados y presentes respaldados por CIRM.

CIRM es un prestamista de primera instancia que respalda proyectos mucho antes de que la mayoría de los inversores estén listos para formar parte del equipo. Debido a la credibilidad que ofrece CIRM, esos proyectos logran atraer colaboradores de la industria que están dispuestos a invertir cientos de millones de dólares.

Cofinanciación:

Financiación de instituciones, la industria o inversores que se unen a CIRM para financiar un proyecto específico desde su inicio. (La financiación de CIRM y del colaborador son simultáneas.)

\$1,000 millones

Financiación en colaboración:

Respaldo declarado al que se comprometen los colaboradores, independiente de la financiación de CIRM, para ayudar a impulsar un proyecto.

\$1.6 mil millones
(1.06 mil millones en 2018)

Financiación adicional:

Toda financiación que un investigador principal pueda obtener, haciendo uso del respaldo del proyecto por parte de CIRM, para atraer fondos adicionales de inversores.

\$541 millones

Algo
mejor que la
esperanza
Ahora mismo.

\$1.64 mil millones

La nueva financiación privada se ha multiplicado cada año – pasando de \$40.5 millones en 2015 a \$1.06 mil millones en 2018.

Cantidad total de financiación privada
 2015-2018: \$1.64 mil millones

2018 | **\$1.06 mil millones**

2017 | **\$389 millones**

2016 | **\$153 millones**


2015 | **\$40.5 millones**

Nueva inversión industrial privada por año

**Dónde están ahora.
 Ahora mismo.**

En 2016, celebramos a Brenden Whittaker por ser la primera persona que se curó de la enfermedad granulomatosa crónica, ligada al cromosoma X (X-CGD, por sus siglas en inglés), un trastorno inmune raro que lo dejó imposibilitado de luchar contra infecciones micóticas o bacterianas. Hoy en día, Brenden está por obtener su título de licenciatura en ciencias médicas, el primer paso para convertirse en médico. Él dice que continúa estando muy agradecido a Don Kohn de la Universidad de California en Los Ángeles (*University of California, Los Angeles*) (UCLA) (vea la página 21) y a CIRM por hacer que esto sea posible.



A portrait of Bertram Lubin, M.D., a middle-aged man with glasses, smiling and resting his chin on his hand. He is wearing a light blue dress shirt and a patterned tie. The background is a blurred office setting.

“ Estoy orgulloso del avance de CIRM y de las curas que estamos brindando. Pienso que es maravilloso que California haya tenido la visión de hacer algo tan significativo como esto y que se haya convertido en un líder mundial.

CAMBIANDO LA ESPERANZA

Bertram Lubin, M.D.

Decano adjunto de Children's Health (Salud Pediátrica) del Benioff Children's Hospital (Hospital de Niños "Benioff") de UCSF

Durante los últimos 43 años en el Hospital de Niños "Benioff" Oakland, de UCSF, el Dr. Bert Lubin se ha dedicado a ayudar a que las comunidades necesitadas obtengan acceso a terapias que cambian la vida. Cuando le dieron la oportunidad de participar en el Consejo de CRM, no lo dudó.

"Me hice una idea de las oportunidades que pueden ofrecer las terapias con células madre para tratar una variedad de enfermedades, incluso la de células falciformes", explica el Dr. Lubin.

Dos millones de afroamericanos son portadores de mutaciones de células falciformes y 100 mil estadounidenses padecen de la enfermedad. En los Estados Unidos, 1000 bebés nacen con la enfermedad cada año, pero esta cifra palidece al compararla con los 1000 bebés africanos que nacen con esta enfermedad cada día.

"Todo lo que hacemos aquí en CIRM tiene un impacto directo en la enfermedad de células falciformes", dice el Dr. Lubin. "Puede tener un impacto global".

Respaldo industrial de 2018

Enfermedad	Cesionario	Socio de inversiones/ industria	Financiación de 2018
Insuficiencia renal	Humacyte, Inc.	Serie C	\$75 millones
Mieloma múltiple	Poseida Therapeutics, Inc.	Serie B	\$31 millones
Inmunodeficiencia combinada grave por deficiencia de adenosina desaminasa	Orchard Therapeutics	GlaxoSmithKline	No declarada
Leucemia mieloide aguda	Nohla Therapeutics	Serie B	\$56 millones
Leucemia mieloide aguda y cáncer colorrectal avanzado	Forty Seven, Inc.	Oferta pública inicial	\$113 millones
Insuficiencia renal	Humacyte, Inc.	Atención médica "Fresenius"	\$150 millones
Inmunodeficiencia combinada grave por deficiencia de adenosina desaminasa	Orchard Therapeutics	Serie C	\$150 millones
Inmunodeficiencia combinada grave, ligada al cromosoma X	Dr. Sorrentino (St. Jude's)	Mustang Bio	No declarada
Diabetes de tipo 1	ViaCyte, Inc.	CRISPR Therapeutics	\$25 millones
Diabetes de tipo 1	ViaCyte, Inc.	W.L. Gore & Associates, Inc.	\$10 millones
Tumores sólidos avanzados	Fate Therapeutics	Oferta pública posterior a la inicial	\$144 millones
Inmunodeficiencia combinada grave por deficiencia de adenosina desaminasa	Orchard Therapeutics	Oferta pública inicial	\$226 millones
Lesión de la médula espinal	Asterias Biotherapeutics	BioTime, Inc.	No declarada
Diabetes de tipo 1	ViaCyte, Inc.	Serie D	\$80 millones



¿Dónde están? Ahora mismo.

Cuando la retinitis pigmentosa dejó a Rosie Barrero legalmente ciega (como indicamos en nuestro informe anual de 2016), se preguntaba si alguna vez volvería a ver el rostro de sus hijos. Después de un tratamiento con células madre financiado por CIRM, pudo hacerlo.

Hoy en día, puede ver a sus hijos crecer y desempeñarse exitosamente.

"Mi hija gemela está en su segundo año de la universidad", dijo Barrero. "Puedo comunicarme con ella por FaceTime y ver que se está convirtiendo en una increíble joven. Su hermano gemelo con necesidades especiales es un joven muy guapo. Y, recientemente, mi brillante hija de 16 años y yo hicimos unos bellos arreglos florales – algo imposible de hacer si nos falla la vista.

Metas a cinco años

Desempeño operativo de CIRM

El año 2018 marca el tercer año de implementación del plan estratégico a cinco años de CIRM. Este plan audaz se concentra en reducir a la mitad el tiempo que lleva que las ideas científicas innovadoras completen las etapas de investigación. En la actualidad, CIRM ha implementado sistemas eficaces para atraer los proyectos con el mayor potencial de éxito. Estamos bien equipados para administrar una cartera de primera categoría de proyectos clínicos que ofrecen las mejores probabilidades de tratar y curar enfermedades y lesiones debilitantes que antes se consideraban incurables.

Este enfoque está produciendo resultados sorprendentes. Estamos reduciendo los costos administrativos por solicitud y acelerando el paso de tales solicitudes por nuestro proceso de revisión. Todo esto se hace sin sacrificar para nada la calidad.

LOS LOGROS OPERACIONALES INCLUYEN:

- Implementación de nuestro plan estratégico de cinco años, con muchas metas logradas antes de lo previsto
- Mayor cantidad de programas en ensayos clínicos
- Fortalecimiento de las relaciones con inversores y la industria para respaldar una fuente activa de fondos privados para proyectos respaldados por CIRM
- Menores costos operacionales y mayor eficacia, mejorando al mismo tiempo los estándares de desempeño
- Financiación de otorgamientos expedita, con proyectos financiados y puestos en marcha más rápidamente

En CIRM, nuestra meta es mejorar siempre, optimizarnos y trabajar de una manera más inteligente y rápida.

Metas y avance de CIRM en 2020



Introducir 50 nuevos candidatos a tratamientos en el desarrollo

Estado
33
candidatos



Aumentar los proyectos que avancen a la siguiente etapa de desarrollo en un 50 por ciento

Estado un aumento del
110%



Promulgar un nuevo paradigma regulatorio más eficaz para las terapias con células

Estado
5 terapias financiadas por CIRM, aceleradas por FDA, por medio de la terapia avanzada de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés)

Puntos operacionales destacados

Impacto de CIRM

- 3** semanas menos para celebrar contratos
- 70+** ensayos clínicos iniciados por medio de la red de clínicas "Alpha" de células madre de CIRM
- 4** años de financiación de etapas clínicas "siempre abiertas"
- 72** paneles de asesoramiento clínico convocados (*un aumento del 80 por ciento desde 2015*)
- 38** eventos de asociación (licencias, y financiación adicional) hasta la fecha
- 886** linajes del repositorio de células madre pluripotenciales inducidas (iPSC, por sus siglas en inglés) de CIRM vendidos hasta la fecha (350 en 2018)
- 57** eventos de progresión desde 2016, marcando la capacidad de CIRM para hacer avanzar proyectos a la etapa clínica
- 1,000** proyectos de células madre financiados desde el comienzo de CIRM
- 1,180** pacientes en ensayos clínicos respaldados por CIRM, en el pasado y el presente

VIVIENDO NUESTRAS METAS



ACELERAR

Reducir el tiempo de traducción (del descubrimiento al ensayo clínico) en un 50 por ciento

Estado

4 candidatos a la solicitud de investigación de nuevos medicamentos (IND, por sus siglas en inglés) dentro de un período de 18 meses



VALIDAR

Agregar 50 nuevos ensayos clínicos a la cartera de CIRM

Estado

33 ensayos agregados en tres años (total de 50)



COLABORAR

Asociar un 50 por ciento de los proyectos clínicos sin colaborador, con socios comerciales

Estado

59% asociado

Puntos operacionales destacados

Un nuevo paradigma regulatorio

En 2015, establecimos algunas metas audaces en nuestro plan estratégico, ninguna más ambiciosa que crear un entorno regulatorio completamente nuevo. Pero está sucediendo. En 2017, el FDA creó la designación de terapia avanzada

de medicina regenerativa (RMAT) para acelerar las terapias celulares que impliquen una promesa significativa, proporcionándoles la categoría de revisión prioritaria. De los 25 programas de RMAT hasta la fecha, cinco están financiados por CIRM.

CIRM ha financiado 1000 proyectos en más de 70 instituciones en California

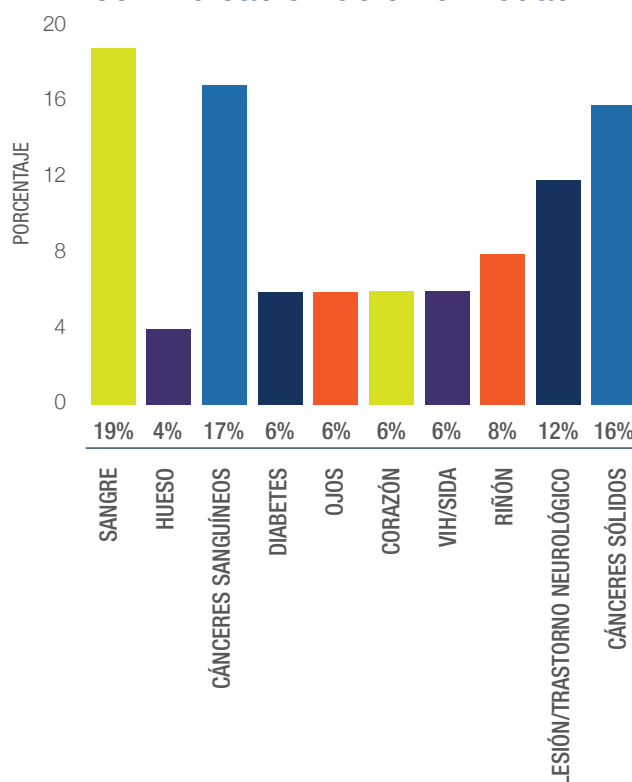
y es el mayor patrocinador mundial de la investigación clínica de la medicina de células madre y la medicina regenerativa. Más de 2700 descubrimientos médicos han sido revisados por colegas y se han publicado en revistas científicas. *Pero lo más importante es que se han salvado vidas, se han podido dar segundas oportunidades y han aumentado las curas más allá de lo esperado.*



“Aprendí que la recompensa de una investigación no es el prestigio de descubrir la próxima cura innovadora, sino más bien saber que, a pesar de los obstáculos, perseverar nos permite transformar positivamente la vida de la gente.

Angelina Quint, participante del Programa de verano para acelerar el conocimiento de la medicina regenerativa (*Summer Program to Accelerate Regenerative Medicine Knowledge*) (SPARK), el programa de verano para acelerar el conocimiento de la medicina regenerativa.

Financiación de ensayos clínicos con indicación de enfermedad



“

Estamos muy agradecidos. CIRM ha sido un colaborador perfecto para ayudar a brindar este enfoque, combinando la terapia con células madre y la ingeniería de tejidos. Pero ver a los pacientes es lo que me mantiene motivada para hacer la investigación y seguir perseverando.

IMPULSO IMPLACABLE

Diana L. Farmer, M.D.

Cirujana fetal y neonatal, y presidente del Departamento de Cirugía en UC Davis Health

La espina bífida, un defecto de nacimiento que hace que la columna vertebral no se forme adecuadamente (con frecuencia antes de que una mujer sepa que está embarazada), se presenta en hasta 2000 niños por año en los Estados Unidos. La enfermedad es la causa más común de la parálisis de por vida y frecuentemente lleva a otros problemas médicos serios que afectan el intestino y la vejiga. No existe cura alguna.

Desde 2008, la médica Diana Farmer de la Universidad de California en Davis, una cirujana fetal y neonatal internacionalmente renombrada, ha estado trabajando para ayudar a caminar a los niños con espina bífida. Pero ahora se está concentrando en utilizar células madre trasplantadas en el feto para corregir el problema antes del nacimiento. La Dra. Farmer ha curado exitosamente la espina bífida en ovejas y bulldogs como prueba del concepto y, con la ayuda de CIRM, va camino a comenzar ensayos clínicos en humanos.

Aunque todavía está en la etapa de desarrollo, es posible que este trastorno que nos ha plagado desde el comienzo de la humanidad tenga una cura en el lapso de nuestras vidas.

Puntos operacionales destacados

Estableciendo ensayos clínicos de células madre líderes a nivel mundial para los pacientes que más los necesitan

Red de clínicas “Alpha” de células madre

Es importante crear las terapias más prometedoras con células madre pero, sin equipos capacitados para proveer esas terapias a los pacientes, sería un trabajo hecho a medias. Es por eso que creamos la red de clínicas “Alpha” de células madre de CIRM – seis centros médicos de primera categoría dedicados a proporcionar a los pacientes tratamientos comprobados con células madre y terapias con ensayos clínicos sancionados por el FDA.

Cada año, las clínicas “Alpha” de células madre organizan un simposio a nivel estatal, presentado por CIRM, que exhibe el trabajo de cada una de las clínicas y reúne a investigadores, científicos, pacientes y sus defensores, así como al público, para conversar consideradamente sobre las terapias con células madre. La reunión de 2018 en UCLA fue un gran éxito y destacó el poder de un enfoque centrado en el paciente.

La red ha respaldado más de 70 ensayos clínicos, enfocándose en más de 40 diferentes enfermedades e inscribiendo a más de 400 pacientes hasta la fecha.

Repositorio de células madre pluripotenciales inducidas (iPSC)

Las células madre humanas y pluripotenciales son únicas porque se las puede hacer crecer en un laboratorio y convertirlas en cualquier tipo de célula del cuerpo. Como la genética subyacente a la enfermedad humana es compleja, para avanzar hacia la cura se necesita información genética detallada sobre cada uno de los linajes de células madre, así como múltiples linajes que representen la variabilidad genética entre pacientes.

Para abordar esta necesidad, CIRM creó el mayor banco mundial de células madre pluripotenciales inducidas (iPSC). Las células iPSC se pueden reprogramar para que tengan la misma constitución



genética, incluyendo toda mutación causada por una enfermedad, que la persona de quien fueron tomadas las células originales. El repositorio de iPSC de CIRM almacena una colección de células madre de miles de personas, algunas saludables, pero otras que tienen enfermedades del corazón, pulmón, hígado u otras enfermedades o trastornos.

El repositorio de iPSC de CIRM se estableció para emplear el poder de las iPSC como herramienta para los modelos de enfermedad y el descubrimiento de medicamentos. El Centro Stanley para la Investigación Psiquiátrica (*Stanley Center for Psychiatric Research*) del Instituto “Broad” (*Broad Institute*) y la Universidad de Harvard (*Harvard University*) están utilizando el repositorio de iPSC de CIRM para estudiar trastornos tales como el autismo. El Instituto “Broad” se ha embarcado en la secuenciación de genomas enteros (WGS, por sus siglas en inglés) de cientos de linajes del repositorio de CIRM con el objetivo de identificar los genes relacionados con trastornos neurológicos y utilizar esta información como punto de partida para encontrar curas.

“ Los tratamientos que se están elaborando con el respaldo de CIRM son muy importantes. Estos ofrecen una posible cura para una enfermedad y una comunidad que la necesita desesperadamente.

Marissa Cors

Diagnosticada con la enfermedad de células falciformes a los 6 meses de edad.

Casi 40 años después de su diagnóstico, Marissa Cors dice que vivir con la enfermedad de células falciformes tiene consecuencias negativas, tanto físicas como emocionales.

Cors dice que vivir con la enfermedad significa estar constantemente adolorida y en estado de limbo. No tiene idea de cuándo ocurrirá la próxima crisis, qué tan fuerte será el dolor o cuánto tiempo durará.

“Esto significa estar hospitalizada y dejar en suspenso mi vida con tanta frecuencia que es difícil tener un trabajo o una carrera, o tener una vida normal”, dice ella. “Es difícil hacer las cosas que todos los demás dan por sentadas”.

Donde están. Ahora mismo.

En la portada de nuestro informe anual de 2017, destacamos a Ronnie Kashyap, a quien se le diagnosticó inmunodeficiencia combinada grave (SCID) (un raro trastorno inmune potencialmente mortal) poco después de haber nacido. Un ensayo clínico financiado por CIRM en UCSF ayudó a restaurar el sistema inmune de Ronnie – y un año después – es un joven saludable y exitoso que puede hacer todo lo que hacen los niños, incluyendo celebrar Diwali, el festival hindú de las luces, con sus padres.



Puntos operacionales destacados

Los paneles consultivos marcan el inicio de un cambio real para personas reales

El enfoque de CIRM para identificar y respaldar los desarrollos científicos importantes es diferente al de las otras organizaciones del mundo. Nuestra combinación única de asociaciones públicas y privadas ha creado un modelo completamente nuevo para alcanzar avances médicos más rápidos y eficaces.

Debido a su rol como centro global de investigación de células madre, CIRM se ha convertido en una fuente valiosa de conocimiento, información, datos y experiencia. A medida que evoluciona el campo de las terapias con células madre, CIRM permanece en su seno, ayudando a forjar el futuro y decidida a ofrecer los beneficios de una nueva era de la medicina a los californianos.

Es posible que CIRM sea centro de una industria, pero los pacientes y sus defensores son el corazón de CIRM. Participan en cada una de las etapas de nuestro proceso, ocupan 10 de 29 puestos en la junta directiva de CIRM y participan en paneles consultivos que guían los proyectos en etapas clínicas respaldados por CIRM.

Algo
mejor que la
esperanza.
Ahora mismo.

Los paneles consultivos proveen apoyo, guía y las perspectivas de los pacientes

Cuando la junta directiva de CIRM aprueba un proyecto, ese es solo el primer paso de nuestro esfuerzo para ayudarlo a tener éxito. También hemos creado dos grupos únicos e innovadores para respaldar a los científicos a cada paso del proceso.

Paneles consultivos clínicos

Para cada nuevo ensayo clínico que financiamos, creamos un panel consultivo clínico (CAP) para respaldar, guiar y asesorar a los investigadores. Un CAP consiste en, por lo menos, tres asesores: un funcionario de ciencias de CIRM, un experto independiente en células madre y un defensor de pacientes. Estos ayudan a los investigadores a planificar el ensayo clínico, solucionar posibles obstáculos y trabajar colectivamente para superar todo problema que surja en el camino. El rol del defensor de pacientes es particularmente decisivo, porque asegura que la voz y las necesidades del paciente estén en primer plano cuando se diseña el ensayo.

Paneles consultivos traslacionales

Un panel consultivo traslacional (TAP, por sus siglas en inglés) es como un CAP, pero está diseñado para respaldar las etapas iniciales de la investigación en las que los científicos llevan a cabo los estudios necesarios para comprobar que un enfoque es promisorio para la aplicación clínica. Si un proyecto tiene éxito en la etapa traslacional, avanza hacia un ensayo clínico para comprobar una terapia en sujetos humanos. Modelado a partir del exitoso programa de CAP, los primeros cuatro TAP se establecieron en 2018.

“ Me gusta pensar que soy un puente entre los pacientes y sujetos y los proveedores de atención médica y científicos con los que interactúan.

APOYANDO EL CAMBIO

Gigi McMillan

Defensora de pacientes

“Tengo experiencia personal con enfermedades potencialmente mortales”, dice Gigi McMillan. “Mi propio hijo tuvo un cáncer cerebral cuando tenía 5 años de edad”.

McMillan forma parte de un nuevo grupo de defensores de pacientes, personas que desean asegurarse de que el paciente forme parte, desde el principio, de la búsqueda de nuevas terapias. Ella personifica el importante rol que tienen los defensores de pacientes en CIRM. Está en un panel consultivo clínico para un ensayo clínico del cáncer cerebral que financiamos. También es una oradora edificante, que nos recuerda siempre por qué realizamos este trabajo.

“Sé exactamente lo que es desear una cura con todo mi ser y estar dispuesta a arriesgarme en un procedimiento experimental que no ofrece ninguna garantía”, dice McMillan. “Mi meta es ayudar a que todas las partes interesadas – pacientes, sujetos, médicos, científicos – entiendan que la investigación ética depende de una ciencia válida y relaciones honestas”.

Enfocándonos en el cambio

Una nueva perspectiva sobre los trastornos neurodegenerativos

Desde que los científicos comenzaron a estudiar las células madre, han mantenido la esperanza de poder un día utilizar tales células para tratar enfermedades cerebrales y del sistema nervioso central, tales como la enfermedad de Parkinson y la esclerosis lateral amiotrófica (conocida como ELA (ALS, por sus siglas en inglés) o enfermedad de Lou Gehrig). Los proyectos que financia CIRM están haciendo que ese día se acerque cada vez más y podrían ayudar a millones de personas en todo el mundo.

ELA

En los Estados Unidos, cada año se diagnostica aproximadamente a 6000 personas con ELA. Por lo general, la ELA afecta a personas de entre 40 y 70 años, que sobreviven en promedio solo entre dos y cinco años después de su diagnóstico. Las personas que tienen ELA pierden la capacidad de mover los músculos. Con el tiempo, los músculos se atrofian y se paralizan. La muerte prematura es inevitable. No existe ninguna terapia eficaz para la enfermedad.

Hay dos iniciativas respaldadas por CIRM en marcha para tratar la ELA:

Los investigadores del **Centro Médico “Cedars-Sinai” (Cedars-Sinai Medical Center)**, de Los Ángeles, están utilizando un ensayo clínico en su etapa inicial, financiado por CIRM, con células madre que se han convertido en astrocitos, las células cerebrales que protegen las células destruidas por la ELA. Estos astrocitos se diseñan para estimular su capacidad protectora, a fin de impedir el avance de la enfermedad.

BrainStorm Cell Therapeutics tiene un ensayo clínico de fase 3 que utiliza células tomadas de la propia médula espinal del paciente. Luego, estas se modifican para estimular la producción de factores que se sabe que ayudan a apoyar y proteger las neuronas, las células destruidas por la enfermedad. Los ensayos de etapas iniciales sugirieron que este enfoque era seguro y prometedor para ayudar a detener el avance de la enfermedad en algunos pacientes.

Enfermedad de Parkinson

La enfermedad de Parkinson afecta aproximadamente a 1 millón de personas en los Estados Unidos y a 7 millones de personas en todo el mundo. Esta ocurre cuando mueren las neuronas, las células nerviosas del cerebro, que controlan el movimiento.

CIRM está financiando un equipo de la **Universidad de California, San Francisco y el Centro Médico “Cedars-Sinai”**. El equipo está probando células que han sido diseñadas para tener mayores cantidades de una sustancia química que puede proteger las células cerebrales vulnerables y ayudar a detener el avance de la enfermedad.

Algo
mejor que la
esperanza.
Ahora mismo.

“ Cuando hablo sobre CIRM, le digo a la gente que, si vive en California, debe estar orgullosa de cómo se gasta su dinero y cómo esto mejora la vida de la gente.

FIRME DETERMINACIÓN

David Higgins, Ph.D.

Miembro de la junta de CIRM, defensor de pacientes y paciente

Para David Higgins, Ph.D., la enfermedad de Parkinson es un legado familiar. Su abuela y tío maternos sufrieron de la enfermedad y, a principios de 2014, su madre falleció por una demencia por cuerpos de Lewy, que está relacionada con la enfermedad de Parkinson. Un par de años antes de cumplir los 50, Higgins comenzó a experimentar los síntomas de Parkinson y, en 2011, le diagnosticaron la enfermedad.

Higgins se ha convertido en un defensor de las personas con Parkinson y sus cuidadores. También está decidido a ayudar a encontrar una cura y aboga por una mayor financiación de las investigaciones. Él utiliza sus experiencias personales con el propósito de trabajar para mejorar la calidad de vida por medio de la educación y el apoyo.

“Pienso que lo que ha hecho CIRM es decisivo”, dice Higgins. “La organización ha creado una nueva manera de financiar la mejor ciencia del mundo y ha posibilitado una manera de involucrar a la comunidad en la toma de decisiones”.

Una presencia global

Aumentando la visibilidad de las iniciativas de células madre de California

Las organizaciones globales invitan cada vez más a los expertos de CIRM a compartir sus opiniones y experiencias, lo cual refleja la influencia cada vez mayor de CIRM en la ciencia médica de todo el mundo. Tengo la esperanza de que la visibilidad de CIRM en el ámbito internacional impulse aún más la inversión en el ecosistema de la medicina regenerativa de California.

Cumbre mundial sobre células madre

En la cumbre mundial sobre células madre en Miami, la presidente y directora general de CIRM, Dra. María Millan, compartió opiniones sobre la importancia de la red de clínicas “Alpha” de células madre de CIRM, no solo para la provisión de terapias con células madre a pacientes, sino también para la creación de un nuevo enfoque más colaborativo para la medicina. Como equipo, CIRM cubrió temas que varían de asociaciones públicas/privadas a consideraciones regulatorias debido a la importancia de la financiación estatal para fomentar el campo.

Facebook en vivo

Las redes sociales son un aspecto importante de nuestros esfuerzos para llegar a la comunidad que nos permite involucrar a muchas más personas que personalmente. Una nueva estrategia de comunicaciones que se introdujo en 2018 fue “Pregunte al equipo de células madre”, una serie de conversaciones en vivo, en Facebook, la cual destaca a investigadores financiados por CIRM que presentan lo más destacado de su trabajo y responden preguntas en vivo de los espectadores. Las sesiones llegaron a contar con más de 19000 personas, con más de la mitad de ellas ubicadas fuera de California y hasta un 10 por ciento de la audiencia ubicada fuera de los Estados Unidos.

Conferencia Internacional del Vaticano: Unirse para una cura



Dra. María Millan, una de las panelistas en la Conferencia “Unirse para una cura” de 2018, en el Vaticano.

En abril, en la Conferencia Internacional del Vaticano: Unirse para una Cura, se juntaron oradores y expertos de cada una de las regiones del mundo para abordar cómo las ciencias, la tecnología y la medicina del siglo XXI impactarán la cultura y la sociedad. La Dra. Maria Millan de CIRM participó en un panel en el que se habló sobre “las asociaciones públicas/privadas para acelerar los descubrimientos”, en donde destacó el enfoque único de aceleración liderado por CIRM.

¿Tiene preguntas sobre las terapias con células madre para la enfermedad de células falciformes?
Entonces, “pregúntele al equipo de células madre” en **FACEBOOK LIVE**

 DON KOHN, MD Profesor distinguido Microbiología, Inmunología y Genética Molecular, Pediatría Centro de Investigación de células madre “Broad” de UCLA	 ADRIENNE SHAPIRO Defensora de pacientes Enfermedad de células falciformes Fundadora, Axis Advocacy	 MARK WALTERS, MD Director, Programa de trasplante sanguíneo y de médula ósea, Hospital de Niños “Benioff” de UCSF en Oakland
---	--	--

Martes, 28 de agosto, del mediodía a la 1 de la tarde (hora del Pacífico)

f LIVE **@CalifornianInstituteForRegenerativeMedicine** **CIRM**
INSTITUTO DE CÉLULAS MADRE DE CALIFORNIA

“ La ciencia me parece increíble. Uno puede eliminar una enfermedad, que de otra manera sería mortal, corrigiendo el defecto genético en las células madre de la médula ósea y dejando que la naturaleza se ocupe del resto, para construir un nuevo sistema inmune. Fue asombroso. Todavía lo es.

PROPORCIONANDO CURAS

Donald B. Kohn, M.D.

Investigador y profesor, Universidad de California en Los Ángeles, Departamento de Microbiología, Inmunología y Genética Molecular

Al principio de su carrera de medicina, el Dr. Don Kohn se prometió a sí mismo que se dedicaría a la investigación de las células madre, que pueden tratar enfermedades potencialmente mortales.

Las terapias desarrolladas como resultado directo del trabajo del Dr. Kohn han tratado a más de 40 niños que tenían la enfermedad potencialmente mortal ADA-SCID (una deficiencia inmune). Muchos de estos niños ahora tienen vidas normales y saludables. El Dr. Kohn también continuó creando ensayos clínicos para la enfermedad de células falciformes y la enfermedad granulomatosa crónica ligada al cromosoma X, o X-CGD. (Vea la historia de Brenden Whittaker en la página 7.)

“La financiación de CIRM ha sido esencial para el éxito general de mi trabajo”, dice el Dr. Kohn, “ya que me respaldó para navegar los pasos complejos regulatorios de la elaboración de medicamentos, incluyendo las interacciones con los estudios del FDA y los estudios toxicológicos que mejoraron y ayudaron a impulsar el ensayo clínico de ADA-SCID”.

Ganadores del premio “Game Ball” de CIRM, de

2018



Lila Collins, Ph.D.

Directora asociada, Therapeutics

La Dra. Collins es una funcionaria de ciencias en CIRM que trabaja estrechamente con investigadores para inscribir y supervisar a candidatos para otorgamientos en etapas clínicas. Ella dejó su legado en CIRM – y en el campo de la medicina regenerativa – por estar dispuesta a estar fuera de su elemento y dar más de lo que su deber exige para acelerar proyectos a pesar de las vicisitudes y los grandes desafíos.



Steve Torrence

Arquitecto principal de tecnología de la información (IT, por sus siglas en inglés)

Como arquitecto principal de IT para el software que utiliza CIRM, a fin de revisar aplicaciones y administrar premios, el rol de Steve es hacer que el resto de CIRM sea más eficiente. CIRM es una organización dinámica, que evoluciona y perfecciona sus procesos constantemente. No podemos darnos el lujo de dejar que nuestro sistema de información atrase esa evolución. Es un constante desafío mantener el sistema flexible mientras satisface las necesidades diarias. Steve ganó su premio “Game Ball” por cumplir constantemente ese desafío.



Tricia Chavira

Gerente de proyectos, Revisión

Tricia administra diariamente el proceso que lleva las más prometedoras solicitudes de otorgamientos, por medio de CIRM, a paneles independientes de revisión de expertos y, luego, las dirige a nuestro consejo. Por organizar tres reuniones de revisión (dos de estas en persona) en 30 días y por reducir una reunión típica de dos días a un solo día, ella recibe un premio “Game Ball” de 2018.



Todd Dubnicoff, Ph.D., Kevin McCormack, María Bonneville, Karen Ring, Ph.D.

Equipo de comunicaciones

María Bonneville, Todd Dubnicoff, Kevin McCormack y Karen Ring

Este equipo comunica eficazmente los logros y avances de CIRM al público por medio del blog de CIRM (The Stem Cellar), las redes sociales y los medios de comunicación tradicionales. Traducen ciencias complejas al inglés cotidiano, registrando la historia científica en tiempo real.



Doug Guillen

Asistente ejecutivo superior para el vicepresidente

Durante su estancia en CIRM, Doug ha desempeñado varias funciones. Empezó como gerente de oficina en el departamento de tecnología de la información, luego pasó a tener un rol de asistente ejecutivo y actualmente es gerente de proyectos en una variedad de iniciativas. Gana un premio “Game Ball” (premios a la excelencia en el desempeño) por asumir sus responsabilidades y ser versátil, flexible y receptivo.



Eliana Barnett

Asistente ejecutiva superior para el presidente y director general

Eliana es organizadora por excelencia, haciendo que los proyectos y las personas avancen a tiempo y en la dirección correcta. La reconocemos con un premio “Game Ball” por su concentración en los detalles y su actitud positiva en respaldo del presidente y el director general de CIRM, el presidente de la Junta y los equipos de desarrollo comercial y recaudación de fondos.



Kelly Shepard, Ph.D.

Directora asociada, descubrimiento, traducción y educación

Una funcionaria de ciencias que supervisa programas de investigación de descubrimientos y traducciones en CIRM, la Dra. Shepard ayuda a que los investigadores comiencen a llevar las terapias con células madre desde la mesa de trabajo de los investigadores a la cabecera de los pacientes. Se le otorga un premio “Game Ball” por crear y mantener el tablero de control interactivo de la cartera activa de premios.

Personas que impulsan el desempeño

La gente piensa en CIRM como una agencia de financiación, pero nuestros miembros son uno de nuestros recursos más preciados. Honramos a aquellos que van más allá de lo que su deber exige para ayudar a pacientes necesitados. Reconocemos a estas personas con premios “Game Ball”.



Revisión financiera

Reconciliación financiera de 2018

	1 de enero de 2018	31 de diciembre de 2018
Saldo comprometido	\$2.48 mil millones	\$2.6 mil millones
Saldo no comprometido	\$269 millones	\$144 millones
Saldo bajo administración activa	\$435 millones	\$351 millones
Cantidad de programas bajo administración activa	263	214

Presupuesto aprobado de 2018

Presupuesto aprobado para el año calendario 2019

Programa	Inversión
Educación	\$0.6 millón
Descubrimiento	\$0.0 millón
Traducción	\$20.0 millones
Clínico	\$123.0 millones
Total	\$143.6 millones

“Hoy en día, gracias a los 7.2 millones de votantes que autorizaron al Instituto para la Medicina Regenerativa de California o CIRM, tenemos algo mejor que la esperanza; tenemos resultados, logros, personas curadas, y una manera sistemática de luchar contra las enfermedades crónicas.

Don Reed, Vicepresidente de Public Policy at Americans for Cures

Comunidad

Nuestro compromiso con nuestra comunidad

En CIRM, sabemos que la excelencia científica lleva tiempo. Es por eso que estamos invirtiendo en el futuro, educando a la próxima generación de científicos de células madre. El pueblo de California tiene derecho a saber cómo estamos invirtiendo su dinero, así que salimos a la calle con regularidad para transmitir ese mensaje en persona.

Estudiantes de escuela secundaria



Para muchos de nosotros en CIRM, uno de los eventos más destacados del año es SPARK, también conocido como *Summer Program to Accelerate Regenerative Medicine Knowledge* (Programa de verano para acelerar el conocimiento de la medicina regenerativa). Este evento les brinda a los estudiantes de la escuela secundaria la oportunidad de pasar sus vacaciones de verano trabajando en un laboratorio de células madre de primera categoría. Los estudiantes reflejan la diversa población de California e incluyen a muchos que normalmente no podrían participar en un internado de investigación por razones financieras. La verdadera dicha y entusiasmo que aportan los estudiantes a este trabajo son un poderoso recordatorio de lo emocionante que es esta investigación.

Estudiantes universitarios y de maestría



El programa *Bridges to Stem Cell Research Awards* (otorgamientos por investigación de células madre "Bridges") fue creado para ayudar a capacitar a la próxima generación de científicos de células madre de California. Desde que lanzamos "Bridges", hace casi 10 años, más de 1200 estudiantes han participado en el programa. La mitad de estos aprendices anteriores de "Bridges" están trabajando actualmente en empleos de tiempo completo, en instituciones o compañías de investigación, y casi una tercera parte se ha inscrito en programas de estudios superiores o escuelas profesionales.



Eventos de defensores de pacientes

En 2018, CIRM tuvo su primer evento de defensores de pacientes en la Universidad de California, Riverside. Fue una oportunidad de hablarles tanto al público como a la comunidad científica sobre el trabajo que estamos haciendo y de escucharlos compartir sus esperanzas y planes.

Cincuenta ensayos clínicos financiados

El Instituto para la Medicina Regenerativa de California (CIRM, por sus siglas en inglés) ha financiado 50 ensayos clínicos en 34 tipos de enfermedad diferentes, incluyendo ensayos en etapas iniciales que son prometedores en el tratamiento de algunos de los problemas de salud, enfermedades y lesiones más complejos de la actualidad, para los cuales no se tienen curas conocidas.

Cáncer cerebral

Cáncer de colon

Cáncer de piel

Cáncer de pulmón

Cáncer sanguíneo

Cánceres de célula B

Degeneración macular relacionada con la edad

Derrame cerebral

Diabetes de tipo 1

Enfermedad cardíaca relacionada con distrofia muscular de Duchenne

Enfermedad de células falciformes

Enfermedad de Huntington

Enfermedad granulomatosa crónica ligada al cromosoma X

Esclerosis lateral amiotrófica

Hipertensión pulmonar
Retinitis pigmentosa

Inmunodeficiencia combinada grave ligada al cromosoma X (X-SCID)

Inmunodeficiencia combinada grave por deficiencia de adenosina desaminasa (ADA-SCID, por sus siglas en inglés)

Inmunodeficiencia combinada grave y deficiente del gen Artemis (ART-SCID, por sus siglas en inglés)

Insuficiencia cardíaca

Insuficiencia renal

Lesión de la médula espinal

Leucemia

Leucemia mieloide aguda (AML)

Linfoma relacionado con VIH

Melanoma

Mieloma múltiple

Osteoartritis

¿Dónde están. Ahora mismo.

En 2011, Rich Lajara sufrió una lesión grave en la médula espinal. Poco después, en un ensayo clínico innovador, los cirujanos trasplantaron células madre a su columna vertebral para determinar si las células podían reparar el daño. Él fue el primer paciente tratado en un ensayo clínico financiado por CIRM. Los pacientes que se inscribieron más adelante en un ensayo de seguimiento han demostrado un progreso alentador, recuperando la sensación y el uso de los brazos y manos.

Lajara sabe que lleva tiempo encontrar tratamientos para una enfermedad para la que previamente no había esperanza. Aunque todavía utiliza una silla de ruedas, siente que su participación ayuda a que avance la ciencia y que cada persona que participa en un ensayo clínico nos permite acercarnos un paso más a un tratamiento. Es por eso que apoya el trabajo de CIRM y está luchando por alcanzar algo mejor que la esperanza.



En mi corazón, creo que estar en una silla de ruedas es temporal. Volveré a caminar en algún momento de mi vida. Así que me ayuda saber que hay algo en el horizonte, que existe algún nivel de cura.

