Informe anual 2016

Descargue una versión imprimible de este informe [pdf]
Vea nuestro previo informe anual

CURADA

Evangelina Padilla Vaccaro

Diagnosticada previamente con trastorno de inmunodeficiencia combinada grave

Todavía hay desafíos, pero están surgiendo nuevas curas.

Compromiso pleno y total

CIRM

AGENCIA DE CÉLULAS MADRE DE CALIFORNIA

Informe anual de 2016

MISIÓN

Acelerar los tratamientos de células madre para pacientes con necesidades no cubiertas

Sobre CIRM

El Instituto para la Medicina Regenerativa de California (CIRM, por sus siglas en inglés) surgió de la visión del pueblo de California de que los tratamientos con células madre podían proveer nuevas opciones y una mayor esperanza para pacientes con serias necesidades médicas sin cubrir.

Por consiguiente, los defensores de pacientes unieron fuerzas con médicos y científicos para crear un medio para financiar la investigación de las células madre en California. El 2 de noviembre de 2004, el 59% de los votantes en este estado aprobó la Proposición 71, que enmendó la Constitución de California para establecer el derecho a llevar a cabo la investigación de células madre en California, autorizó $3 mil millones de dólares para financiar la investigación de células madre y creó el CIRM.

Al autorizar estos fondos, los californianos esperan acelerar el desarrollo y entrega de tratamientos y curas con células madre a pacientes, priorizando también las investigaciones éticas que no estaban recibiendo fondos federales oportunos o suficientes.

El consejo directivo de CIRM, el Comité Independiente de Supervisión de Ciudadanos (ICOC, por sus siglas en inglés) trabaja continuamente para impulsar la misión de CIRM mientras provee responsabilidad financiera al pueblo de California.

El ICOC, que incluye a representantes de grupos de defensa de pacientes, investigación médica e industria, se encarga de adoptar normas científicas, médicas, éticas y de propiedad intelectual, tomar decisiones financieras finales sobre otorgamientos de subvención y préstamo, y proveer la supervisión de CIRM.

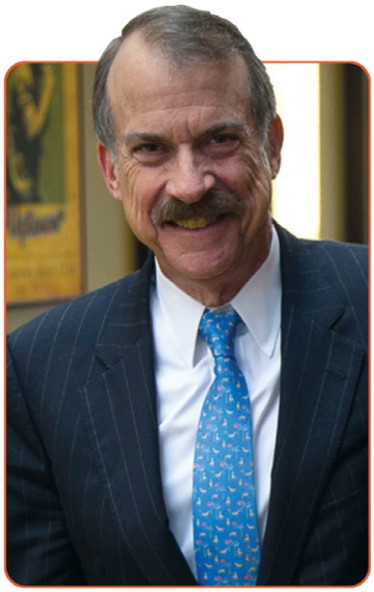
CIRM está enfocado en lograr su misión por medio de la financiación oportuna y eficaz de proyectos de células madre de alta calidad, acelerando así la entrega de los tratamientos y curas resultantes a los pacientes que los necesiten.

CIRM está singularmente comprometido a lograr esta meta porque cada momento cuenta.

CIRM a simple vista

- Se formó en 2004 al aprobarse la Proposición 71.
- Enmendó la Constitución de California para crear el derecho a llevar a cabo una investigación con células madre.
- Creó un fondo de 3 mil millones de dólares para la investigación de las células madre.
- Involucró a pacientes, defensores, médicos, científicos y líderes de la industria en el proceso de toma de decisiones.
- Posibilitó 27 ensayos clínicos de células madre.
- Construyó 12 centros de investigación y tres clínicas "Alpha" de células madre de primera categoría a lo largo del estado.
- Colaboró para crear los primeros centros de traducción y aceleración específicas de células madre.
- Produjo más de 180 invenciones hasta la fecha.
- Administra actualmente más de 250 proyectos activos.

Rememorando



Amigos,

Al rememorar lo que se ha logrado durante los últimos 12 años, el pueblo de California tiene derecho a sentirse orgulloso. En 2004, California actuó audazmente aprobando casi unánimemente la Proposición 71, la Ley de Investigación y Curas con Células Madre de California, creando y financiando el Instituto para la Medicina Regenerativa de California (CIRM).

Hoy en día, tenemos una cantidad enorme de logros, incluyendo centros de investigación de primera categoría, una red única de clínicas Alpha de alta calidad para llevar a cabo ensayos clínicos con células madre y una nueva generación de investigadores de células madre. Mediante nuestra implementación de las disposiciones de la Proposición 71, hemos establecido firmemente al Estado de California como líder mundial en medicina regenerativa.

Sin embargo, no existe beneficio mayor de nuestra inversión que la restauración de la salud que ya se está logrando gracias al CIRM. Evangelina (destacada en la portada), que sufría de un trastorno del sistema inmunológico previamente incurable, ahora está curada. Así es, curada.
Y estamos trabajando para acelerar la disponibilidad de este tratamiento para otras personas. Esta es la promesa de la terapia con células madre. Esta es la promesa de CIRM.

Estamos presenciando los albores de una nueva era en la medicina – una que ofrece una esperanza real a muchos que previamente tenían muy poca. Esta revolución está sucediendo gracias a la visión del pueblo de California. ¡Y nuestro excelente equipo de CIRM está COMPROMETIDO!

Atentamente,

Jonathan Thomas, Ph.D., J.D.
Presidente, Comité de Supervisión para Ciudadanos Independientes

Nuestro COMPROMISO ES PLENO Y TOTAL, como si la vida de alguien dependiera de eso – porque así es.

Mirando hacia el futuro

Amigos,

Mirando hacia el futuro, ahora podemos ver curas y tratamientos en el horizonte para algunos de los desafíos médicos más complicados.

CIRM se centra en una única misión clara: acelerar los tratamientos con células madre para pacientes con necesidades médicas no cubiertas. Cuando se aplica un impulso tremendo, todo en la misma dirección, es posible un enorme avance. Es por eso que desarrollamos e implementamos nuestro plan estratégico actual – "Beyond CIRM 2.0" (Más allá de CIRM 2.0) – y los resultados no podrían ser más alentadores:

- En los últimos dos años, hemos agregado 17 ensayos clínicos de alta calidad a nuestro portafolio;
- Hemos aumentado la cantidad de proyectos que financiamos cada año en un 33 por ciento, y
- Hemos reducido el tiempo que lleva aprobar un otorgamiento de fondos en un 82 por ciento.

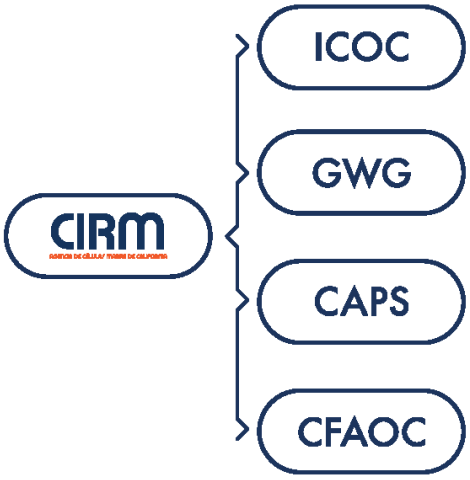
Nuestro equipo asombroso y dedicado entregó estos resultados estupendos, pero ellos solo son posibles gracias a los pacientes que participan en las pruebas de posibles nuevos tratamientos. Todos entran sabiendo que existen riesgos reales, pero participan abnegadamente para que otros puedan beneficiarse. Son verdaderos héroes, y este informe está dedicado a su servicio.

En CIRM, actuamos como si las vidas dependieran de esto, porque así es. Nunca dejaremos de mejorar. Nunca dejaremos de buscar maneras de hacer más, más rápido y con mayor éxito. Vislumbramos el futuro de la medicina. Y en CIRM, nos ESFORZAMOS LO MÁS POSIBLE para que muy pronto nuestra meta se convierta en realidad.

Atentamente,

C. Randal Mills, Ph.D.
Presidente y director ejecutivo

Organigrama de CIRM



Comité de Supervisión Independiente de Ciudadanos—el consejo directivo de 29 miembros, compuesto de líderes de los sectores de defensa de pacientes, biotecnología e investigación médica de California.

Grupo de trabajo para subvenciones—un panel de expertos, todos de fuera de California, que revisan solicitudes para determinar mérito científico y recomiendan al ICOC aquellos que creen que se deben financiar.

Paneles consultivos clínicos—paneles creados para proveer conocimiento, orientación y apoyo a los proyectos en etapa clínica. Cada uno consiste en funcionarios de las ciencias de CIRM, expertos en el campo externos y por lo menos un representante de pacientes para proveer la mayor posibilidad de éxito a nuestros programas clínicos.

Comité de Supervisión de la Responsabilidad Financiera de los Ciudadanos—el comité, liderado por el auditor estatal, para revisar los procedimientos financieros de CIRM.

Nuestros programas de inversión

INFRAESTRUCTURA

El programa de infraestructura de CIRM construye centros reales y virtuales que proveen la experiencia, la información y los recursos necesarios para hacer avanzar más eficazmente los programas y proyectos de CIRM.

EDUCACIÓN

Los programas de educación de CIRM respaldan el desarrollo de una fuerza de trabajo capacitada para impulsar el logro de la misión de CIRM, ahora y en el futuro.

DESCUBRIMIENTO

El programa de descubrimiento respalda la exploración de nuevas tecnologías y tratamientos con células madre, potencialmente innovadores, desde el comienzo hasta la traducción.

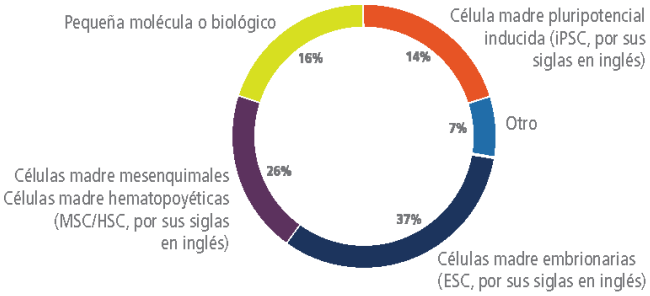
TRADUCCIÓN

El programa de traducción respalda la aceleración de las actividades tempranas de desarrollo que se necesitan para preparar tratamientos con células madre, dispositivos o herramientas para el estudio clínico.

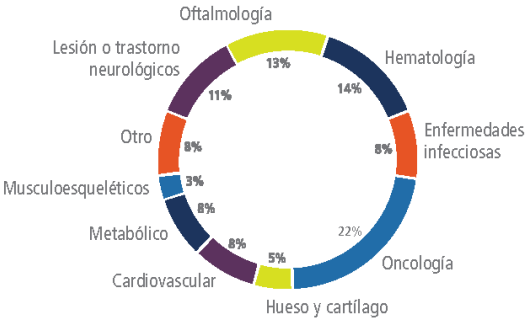
CLÍNICO

El programa clínico respalda la aceleración de ensayos clínicos de alta calidad para los tratamientos con células madre, a fin de abordar las necesidades médicas no cubiertas.

Otorgamientos por tipo de tecnología



Otorgamientos por tipo de enfermedad



Compromiso *pleno y total*

estudiantes capacitados en programas educacionales de CIRM **2,432**

líneas de células madre en el nuevo banco de iPSC de CIRM **1,211**

proyectos financiados desde el comienzo de CIRM **754**

ensayos clínicos de células madre financia-dos por CIRM **27**

centros principales de investigación de células madre construidos en California **12**

clínicas Alpha de células madre creadas por CIRM **3**

Solo hay un por qué

para acelerar los tratamientos con células madre para las personas que más los necesitan

Brenden Whittaker

1 año de edad: Se le diagnosticó el trastorno granulomatoso crónico, una rara enfermedad que hace que el sistema inmunológico no funcione bien, llevando a infecciones bacterianas y micóticas recurrentes que pueden poner en riesgo la vida.

23 años de edad: CURADO

"Es raro estar sano. Antes de este año, estaba enfermo casi todo el tiempo. Iba al médico de dos a tres veces por semana y pasaba tiempo en el hospital.

Ahora, soy feliz con las pequeñas cosas que antes me eran imposibles, pero que ahora puedo hacer sin preocuparme. Cortar el césped es algo que no podía hacer y que comencé a hacer ahora. La mayoría de las personas me miran como si estuviera loco cuando lo digo, pero me encanta cortar el césped. No lo pude hacer durante 22 años de mi vida.

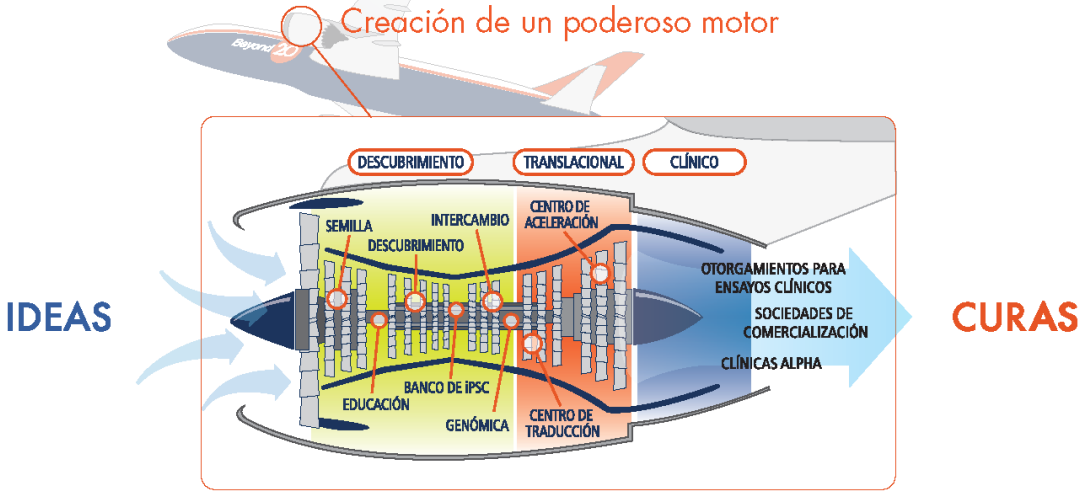
Me estoy preparando para volver a estudiar a tiempo completo. Deseo tomar el curso preparatorio de ingreso a medicina, ir a la facultad de medicina y convertirme en médico. Toda la experiencia que he tenido ha hecho que esté más interesado en ser médico. Simplemente deseo estar en una posición en la que pueda ayudar a personas que pasan por situaciones similares a las que yo viví.

Si usted está pasando por algo como esto, no se dé por vencido. Se están realizando nuevos avances todos los días. Siga luchando. Siga avanzando. Algún día todo se resolverá."

Más claridad y una mayor visión

Plan estratégico de cinco años de CIRM

Creación de un poderoso motor



VOLUMEN | VELOCIDAD | CALIDAD

CIRM ha implementado un plan estratégico para maximizar el impacto de la agencia en un período de cinco años, desde 2016 hasta 2020. Estamos creando un motor que aumenta el volumen, la velocidad y la calidad de nuevas ideas prometedoras sobre células madre y las convierte en realidad. El plan es audaz, pero, teniendo un excelente equipo en el que todos reman en la misma dirección, es posible alcanzar logros espectaculares.

El propósito del plan es crear y mantener una alineación entre los accionistas de CIRM, conectando la misión de nuestro "panorama general" con prioridades, metas y actos específicos.

Para lograrlo, realizamos cuatro cambios al sistema en 2016:

- Estandarizamos nuestros ofrecimientos recurrentes del programa. Ahora se ofrecen programas de descubrimiento, traducción y clínicos en un plan que puede predecirse y repetirse, disponible cuando la ciencia está lista.
- Aumentamos la velocidad y la frecuencia de los ciclos. Ahora revisamos las solicitudes más rápido y más frecuentemente que antes, porque cada momento cuenta.
- Implementamos desembolsos basados en los hitos. Ahora tenemos un sistema de pagos que recompensa el éxito oportuno e incita el progreso.
- Establecimos metas y objetivos específicos. Nuestra misión es clara, y aquellos responsables por cumplirla la adoptan con convicción. Cada equipo dentro de CIRM establece metas trimestrales que son esenciales para el éxito general de la organización. Los problemas se identifican y corrigen rápidamente. Los éxitos se celebran con entusiasmo.

CIRM mejora y se acerca cada día vez más a la posibilidad de brindar tratamientos con células madre que cambian la vida de las personas que más los necesitan.

Metas estratégicas de cinco años

El poder de la claridad

Diagnosticada con retinitis pigmentosa (RP, por sus siglas en inglés), una rara enfermedad degenerativa de los ojos que causa una pérdida aguda de la vista y finalmente ceguera, se le inyectaron en un ojo de Rosie células progenitoras retinianas—el tipo de células que destruye la RP. Durante el curso de varios meses, mejoró su vista en el ojo tratado.

"Mis primeros recuerdos es que era una niña torpe. Siempre cayéndome… tropezándome, derramando cosas. No era consciente de que no podía ver. Comencé a usar anteojos a los 6 años.

No sabía que tenía RP hasta que me diagnosticaron a los 26 años, cuando estaba embarazada con mellizos.

En ese momento, me enteré de que la enfermedad llevaría a la ceguera y que no había cura. Fueron noticias devastadoras.

Antes de la inyección de células madre, mi vista era de 20/400 y se estaba degenerando progresivamente. No había diferencia significativa entre mis ojos. Después de la inyección, mi ojo tratado ha mejorado a 20/200. Me sorprendió ver tanto y tan rápidamente.

Hay más definición y estoy distinguiendo colores que no he visto por años. Me encuentro haciendo más cosas con mi familia ahora que mi vista está mejorando.

Mi sueño era ver a mis hijos. Siempre los vi con mi corazón, pero ahora puedo verlos con los ojos. Ver sus rostros… es verdaderamente un milagro."

Rosie Barrero

2002: Se le diagnosticó retinitis pigmentosa (RP), una rara enfermedad degenerativa de los ojos que causa una pérdida severa de la visión y finalmente ceguera.

2016: VALIENTE

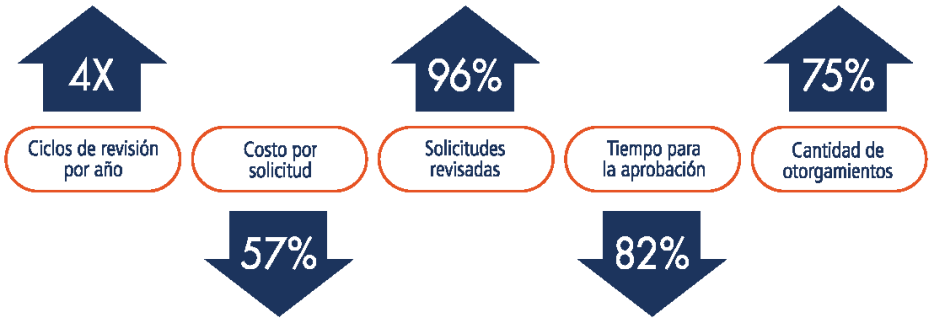
No hay tiempo que perder

Medidas de desempeño operacional para el 2016

Un impulso para lograr la excelencia operacional está pagando dividendos

El aumento de la frecuencia, velocidad y volumen de nuestros programas periódicos también está llevando a un aumento significativo de la productividad.

2016 versus el promedio de los cinco años previos

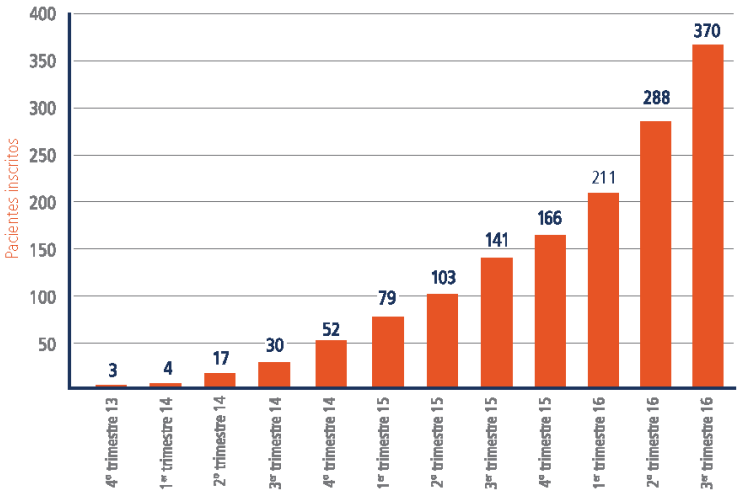


Resumen de otorgamientos de 2016

El tipo, la cantidad y el valor en dólares de los otorgamientos del 2016

En 2016, CIRM realizó 22 evaluaciones diferentes, que resultaron en 83 nuevos otorgamientos que totalizaron casi $262 millones en valor agregado. En particular, se entregaron 12 otorgamientos a proyectos en etapa de ensayo clínico. También realizamos dos inversiones clave en nuestra infraestructura, otorgándole un total de $30 millones al Centro de Aceleración y el Centro de Traducción.

Programa	Series	Cantidad	Inversión
Educación	2	21	$43.1 millones
Descubrimiento	4	37	$46.7 millones
Traducción	2	11	$54.7 millones
Clínico	12	12	$87.1 millones
Infraestructura	2	2	$30.0 millones
Totales	**22**	**83**	**$261.6 millones**



Inscripción total por trimestre

La tasa de inscripción de pacientes aumentó casi tres veces, lo que significa que un ensayo clínico que hubiera llevado tres años en inscribirse ahora puede finalizarse en solo 13 meses.

Amigos,

Nuestro perfil de Frank St. Clair está teñido de tristeza. Frank falleció el viernes, 17 de diciembre, por complicaciones de una enfermedad cardíaca, solo unas semanas después de que se sacara esta foto. Cuando hablamos con su esposa, Paula, pensamos que sería apropiado dejar el perfil en este informe como un tributo a este hombre valiente y compasivo, y como un recordatorio para todos nosotros de que el tiempo vale oro. Frank nunca se dio por vencido y nosotros tampoco lo haremos.

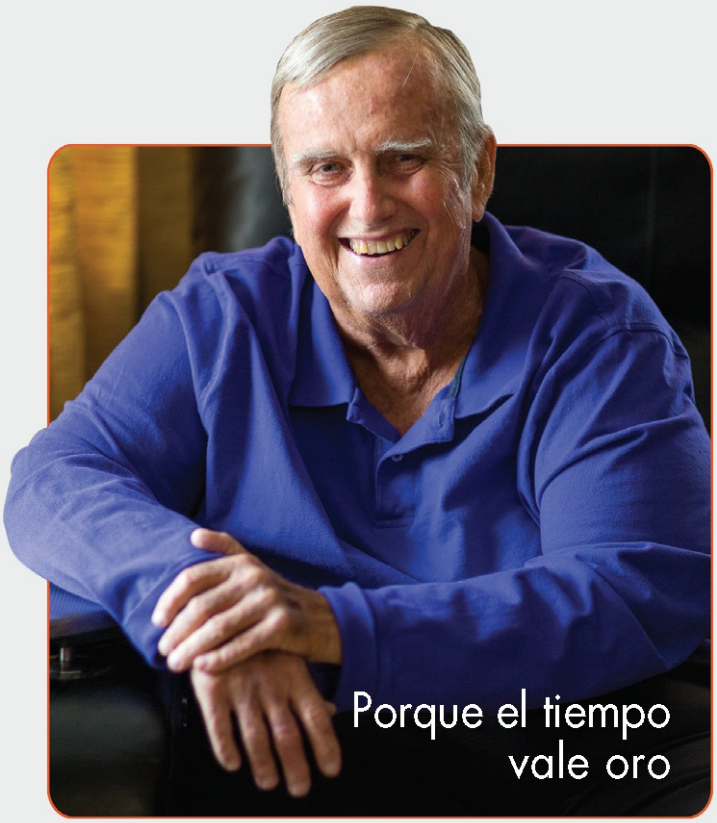
C. Randall Mills, Ph.D.
Director ejecutivo

> Progreso hacia los objetivos

Se alcanzan los hitos a tiempo

Uno de nuestros más universales – y por lo tanto más importantes – indicadores internos es el porcentaje de hitos que nuestros investigadores pueden alcanzar a tiempo. Es una medida tanto de velocidad como de calidad, y este año aumentó dramáticamente – debido en parte a nuestro cambio a un sistema de desembolso basado en los hitos, en donde se incentiva el éxito. El tiempo importa mucho cuando la vida depende de él.

Aumenta cuatro veces la tasa de hitos que se alcanzan a tiempo
19% al 79%



Frank St. Clair

63 años de edad: Diagnosticado con enfermedad renal

67 años de edad: COMPASIVO

Frank tiene una enfermedad renal y se somete regularmente a hemodiálisis. Hace poco se le insertó un dispositivo acelular de Humacyte en el brazo para facilitar la diálisis.

"Desde que obtuve este dispositivo, mi vida ha cambiado completamente, un 100 por ciento. Cuando me hablaron de esto, no sabía nada sobre las células madre. Solo sabía que me sentía destrozado y que, si existía alguna manera de mejorar mi vida, lo quería hacer. Participar en este ensayo clínico ha sido una de las mejores decisiones que he tomado.

Yo era detective privado. Entregamos muchos documentos relacionados con ejecuciones hipotecarias. Odiaba hacerlo. Si podía, ayudaba a la gente. Me encontré con una mujer. Era una buena mujer, y su esposo manejaba todas las facturas, pero él había fallecido. Tenían $1.7 millones en acciones [en una compañía que había declarado bancarrota]. Ella perdió todo. Cuando fui a entregarle sus documentos, no había comido en dos días, así que fui y le llevé algunos comestibles, y me aseguré de que se pagara la factura de electricidad, y luego llamé a su hijo y me aseguré de que la cuidaran.

Mi esposa me dijo que acabaríamos en la quiebra por ayudar a tantas personas, pero yo siempre sentí que el bien que uno hace siempre vuelve, y eso es lo que ha pasado. Obtuve este dispositivo y es increíble.

No se den por vencidos. Mi esposa no me dejó darme por vencido y suceden buenas cosas."

Fue un buen año

Resultados del 2016

Metas establecidas	Resultados demostrados	
10 NUEVOS CANDIDATOS TERAPÉUTICOS DESCUBIERTOS (META 1)	16	Es obvio que no establecimos un estándar lo suficientemente alto porque logramos la meta y luego la excedimos en más de un 50%. Al año siguiente, mejoramos nuestra táctica aún más.
16 SUCESOS DE PROGRESO (META 2)	16	Deseamos financiar la ciencia más prometedora y asegurarnos de que avance a la siguiente etapa de desarrollo – un suceso de progreso. Este año hicimos exactamente eso.
(FDA) Administración de Alimentos y Drogas PARADIGMA REGULATORIO (META 3)	SÍ	Hacer que el FDA, el Congreso y el Presidente acuerden en un nuevo enfoque para la regulación de las células madre (la Ley de Curas del Siglo XXI) no fue una tarea fácil. Pero, finalmente, los esfuerzos combinados de muchos grupos - incluyendo el CIRM – lo lograron y el 13 de diciembre de 2016 se promulgó la ley.
CREAR CENTROS DE TRADUCCIÓN Y ACELERACIÓN DE CÉLULAS MADRE (META 4)	SÍ	Este año, CIRM combinó y abrió ambos centros de una manera única para ayudar a que las investigaciones más prometedoras salgan del laboratorio y pasen más rápido a la etapa de ensayo clínico.
10 NUEVOS ENSAYOS CLÍNICOS (META 5)	10	A mediados del verano, teníamos solo dos ensayos clínicos que se habían aprobado, y bajar nuestros estándares no era una opción. El equipo "Therapeutics" (terapéutica) (uno de los grupos encargados de esta meta), parecía tener problemas. Pero mejoraron dramáticamente en el cuarto trimestre y alcanzaron su meta en diciembre.
3 PROYECTOS CLÍNICOS ASOCIADOS (META 6)	2	Con dos sociedades, logramos un avance significativo, pero no alcanzamos esta meta. Estamos trabajando para finalizar la tarea y concretar la tercera sociedad en 2017.

GRAN 6 2020

Y estamos cada vez más fuertes

#JakeStrong

(La fortaleza de Jake)

Un accidente en vísperas de la graduación de la escuela secundaria lo dejó paralizado desde el pecho hacia abajo.

Después de un tratamiento con células madre, él recuperó algo del uso de sus brazos. Jake espera que las células madre le devuelvan la función de las manos, que ha perdido completamente, así como de los tríceps. En la actualidad, utiliza una silla de ruedas para moverse. Antes de su accidente, tenía planeado ir a California Polytechnic State University (Universidad Politécnica del Estado de California) en San Luis Obispo, para jugar al fútbol estadounidense y estudiar ingeniería mecánica.

"Me gusta participar en deportes y actividades al aire libre. Mientras estaba en Craig Hospital (Hospital "Craig") en Colorado, hicimos varias caminatas y muchas actividades al aire libre como pescar y cazar. Algunas de las actividades requirieron de dispositivos adaptables debido a mi discapacidad, que Craig proporcionó. También hicimos un paseo de un día al parque nacional "Rocky Mountain" y el paisaje era imponente. Participar en actividades al aire libre definitivamente ha jugado un papel vital en mi recuperación.

Asistí a una clínica de rugby con sillas de rueda mientras estaba en Craig. Me trasladaron a una silla de ruedas para rugby y tuve la oportunidad de practicar con algunos jugadores paralímpicos. Me gustó instantáneamente ya que es una actividad de ritmo acelerado y emocionante.

El próximo otoño desearía asistir a la Universidad Politécnica del Estado de California para intentar obtener mi título de ingeniería mecánica. Lo intentaré y me mantendré involucrado en el programa de fútbol estadounidense ayudando a los entrenadores lo mejor que pueda."

Jake Javier

18 años de edad: Sufrió una lesión de la médula espinal que lo dejó paralizado desde el pecho hacia abajo.

19 años de edad: FUERTE

Planificación y preparación para el éxito

Conciliación financiera de 2016

Actividad de otorgamientos para el año calendario 2016

Nuestras predicciones fiscales del plan estratégico permanecen al día. Durante el año, el saldo no comprometido (la cantidad de dinero restante que no ha sido destinada a un proyecto específico) bajó de $760 millones a $528 millones. Esto fue resultado de $262 millones en nuevos otorgamientos que se entregaron, en contraste con $30 millones en reducciones activas de otorgamientos. CIRM tiene actualmente $406 millones bajo una administración activa y predice que $692 millones estarán disponibles para nuevos otorgamientos hasta mediados de 2020.

A partir del 1 de enero de 2016	
• Saldo comprometido/no comprometido	**$1.99 mil millones/$760 millones**
• Cantidad/saldo bajo una administración activa	**261/$342 millones**
Actividad de 2016	
• Número/cantidad de otorgamientos agregados	**84/$262 millones**
• Reducciones de otorgamientos	**$30 millones**
A partir del 31 de diciembre de 2016	
• Comprometido/no comprometido	**$2.22 mil miliones/$528 millones**
• Número/cantidad bajo una administración activa	**255/$406 millones**
Fondos previstos disponibles para nuevos otorgamientos	**$692 millones**

Mejora continua

Por sobre todo, deseamos lograr nuestra misión. Cuando lanzamos CIRM 2.0, el 1 de enero de 2015, pretendíamos cambiar radicalmente la manera en que financiamos la investigación de las células madre para acelerar nuestro proceso y facilitar los proyectos más promisorios, a fin de obtener fondos rápidamente. Desde entonces, hemos realizado una cantidad de mejoras en nuestro sistema. Y continuaremos haciéndolo en los años venideros. Debemos evaluar continua y objetivamente nuestro progreso y realizar cambios oportunos cuando sean necesarios. Algunos cambios que hemos realizado para perfeccionar y mejorar más el sistema:

- Modificamos el sistema de clasificación para aumentar la claridad de las recomendaciones de las evaluaciones
- Agregamos un proceso para evaluar el rigor y la imparcialidad de la evaluación
- Hicimos que la información pasada sobre rendimiento estuviera disponible para aquellos que realizan las evaluaciones
- Eliminamos los costos indirectos para las instituciones con intención de lucro
- Establecimos hitos de proyectos para el programa de descubrimientos y el programa de traducciones del CIRM

Presupuesto aprobado para el año calendario 2017

El tipo, la cantidad y el valor en dólares de los otorgamientos presupuestados de 2017. (Las series y otorgamientos son para los fines de la orientación y no son vinculantes.)

El presupuesto aprobado por el consejo para el 2017 requiere una nueva inversión de $329 millones, lo cual equivale aproximadamente a 70 nuevos otorgamientos entregados en 20 series separadas. Este presupuesto incluye $16 millones para la creación de dos nuevas clínicas Alpha.

Programa	Series	Cantidad	Inversión
Educación	No corresponde	No corresponde	$1 millón
Descubrimiento	4	40	$52 millones
Traducción	3	9 – 12	$45 millones
Clínico	12	hasta 17	hasta $215 millones
Infraestructura	1	2	$16 millones
Totales	**20**	**A determinarse**	**$329 millones**

Nunca dejaremos de mejorar.

COMPROMISO PLENO Y TOTAL.

Revisión de los riesgos

El poeta T. S. Eliot dijo: "Solo aquellos que se arriesgan a ir demasiado lejos pueden descubrir lo lejos que pueden llegar". En CIRM sabemos que existe un riesgo en casi todo lo que hacemos, pero también sabemos que conformarnos con algo menor significaría fracasar en nuestra misión.

Nuestros mayores riesgos son:

- No contar con suficientes solicitudes de alta calidad para que logremos nuestras metas. Se ha comprobado que este no es el caso en 2016, pero sabemos que tenemos que trabajar duro para asegurar que continuemos atrayendo la mejor ciencia posible.
- Falta de interés de solicitantes capacitados en participar en competencias clave. Nuestro Centro de Traducciones y Centro de Aceleración atrajeron algunos solicitantes de alta calidad, ayudándonos a que este año lancemos exitosamente esos programas. Pero terminamos sin ninguna solicitud cualificada para nuestro programa de la Sociedad Pública y Privada de Terapias Aceleradas (ATP3, por sus siglas en inglés).
- Los inversores pueden no estar interesados en los tratamientos con células madre. La falta de una trayectoria de éxitos, y los problemas generados por un proceso regulatorio demasiado complicado hacen que los sectores de capital de riesgo, industria farmacéutica y biotecnología sigan reacios a hacer inversiones sustanciales en la investigación de las células madre. Nuevamente, este riesgo fue evidente en nuestro proceso de ATP3.
- Los tratamientos con células madre pueden no proveer un suficiente beneficio para crear una demanda duradera. Si los tratamientos con células madre no demuestran ser mejores que las terapias actuales disponibles, eso puede llevar a una falta de demanda e inversión en los tratamientos con células madre.
- Pueden surgir problemas de seguridad que reduzcan o limiten la capacidad para llevar a cabo ensayos clínicos. Un serio revés – por ejemplo, el fallecimiento de un paciente – puede tener un enorme impacto en la totalidad del área de investigación, generando preguntas sobre la seguridad y deteniendo los ensayos clínicos. Estamos comprometidos a llevar a cabo ensayos clínicos con los estándares científicos más altos y a tomar medidas rápidas si ocurriera algún problema.
- Siempre debemos estar al tanto del riesgo de perder a miembros de nuestro excelente equipo. Ellos son la razón por la cual la organización se ha desempeñado tan bien, y son esenciales para que CIRM alcance sus metas en el futuro. Dicho de manera más simple, son lo mejor, y necesitamos que permanezcan con nosotros el máximo tiempo posible.

Karl Trede

60 años de edad: Se le diagnosticó cáncer de garganta y más adelante cáncer de pulmones, para lo cual no existía un tratamiento eficaz.

70 años de edad: VALIENTE

"En 2006 me diagnosticaron con cáncer de garganta y me extirparon el tumor y las cuerdas vocales. Varios años después, encontraron que el cáncer se había esparcido a los pulmones.

Mi médico dice que soy un pionero porque dije: Sabemos que no existe ningún tratamiento eficaz para este cáncer. No es probable, pero es posible que esta sea la solución. Y si no puede hacer nada por mí, al menos con suerte hará algo que aprendan para beneficiar a otros.

Me considero muy afortunado. Tengo 70 años de edad y todavía estoy bien.

Tengo cuatro hijos y pasamos mucho tiempo juntos. Cocinamos mucho juntos. El año pasado, decidimos tener una competencia de cocina y asar costillas para 30 personas. Puedo decir con orgullo que mi éxito fue rotundo. Tengo un horno eléctrico y simplemente los cociné despacio y por un rato largo. Solo puedo hacer eso, pasar un tiempo de calidad con ellos, porque todavía estoy aquí."

UNA VISIÓN PARA EL 2020

Desempeño comparado con las metas de cinco años de CIRM

Descubrir

Introducir a 50 nuevos candidatos al desarrollo.

Motivo: Todo comienza con el descubrimiento. Los nuevos conceptos de hoy son las curas del mañana, así que deseamos asegurarnos de que nuestro motor esté bien abastecido con una provisión saludable de nuevas ideas frescas.

Categoría: 16 (32 por ciento de nuestra meta). Estamos bien en camino con esta meta y probablemente lleguemos a 50 nuevos candidatos a principios del 2019, mucho antes de lo programado.

Avanzar

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

Motivo: Cuando un proyecto puede pasar a la siguiente etapa de desarrollo – por ejemplo, del descubrimiento a la traducción – decimos que ha ocurrido un evento de progreso (PE, por sus siglas en inglés). Los PEs son muy importantes en CIRM porque demuestran que el proyecto y el proceso de CIRM están funcionando bien.

Categoría: Aumento de un 33 por ciento. Ya estamos a dos tercios del camino hacia nuestra meta y estamos bien colocados para exceder la marca del 50 por ciento antes del 2020.

Perfeccionar

Representar un nuevo paradigma regulatorio, más eficaz, para terapias con células.

Motivo: Han pasado más de 15 años con la infraestructura regulatoria actual y la FDA no ha aprobado ningún producto de células madre. Parte (pero ciertamente no la totalidad) del motivo es el sistema.

Categoría: El 13 de diciembre de 2016, después del abrumador apoyo bipartito en ambas cámaras del Congreso, el Presidente promulgó la 21st Century Cures Act (Ley de Curas del Siglo XXI). Provee un proceso acelerado hacia la aprobación para los tratamientos con células madre para enfermedades graves. Solo el tiempo dirá si es verdaderamente eficaz, pero es un gran comienzo.

Acelerar

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

Motivo: Está llevando ocho años para que los proyectos de células madre avancen a la etapa en la que pueden comenzar los ensayos clínicos humanos. Para las terapias sin células, ese mismo recorrido lleva solo 3.2 años. Estamos planeando disminuir a la mitad el tiempo de traducción para terapias con células.

Categoría: Para evaluar éste, lo dividimos en dos programas de CIRM que cubren el tiempo de traducción, el programa de traducción (TRAN1) y el programa de investigación que posibilita nuevos medicamentos (CLIN1). Si los tiempos medios para los programas del TRAN1 y CLIN1 son menos de 2.5 y 1.5 años respectivamente, habremos logrado nuestra meta. Ninguno de los programas está lo suficientemente avanzado como para establecer un tiempo medio. Sin embargo, nuestra medida del "éxito del hito a tiempo" indica que todo va bien, y la adición de los nuevos centros de traducción y aceleración seguramente impulsarán el proceso.

Validar

Agregar 50 nuevos ensayos clínicos al portafolio de CIRM.

Motivo: Los ensayos clínicos son el paso final en el proceso de desarrollo, pero finalmente solo se aprueba uno en 10 tratamientos que entran en pruebas humanas. Con esas probabilidades, necesitamos múltiples intentos para lograr la meta.

Categoría: Diez nuevos ensayos o un 20 por ciento hacia la meta. Después de un comienzo lento del año, el equipo de Terapéutica de CIRM cambió realmente la situación, encaminándonos nuevamente hacia la meta.

Colaborador

Combinar un 50 por ciento de los proyectos clínicos sin colaboradores con socios comerciales.

Motivo: Para lograr totalmente nuestra misión y crear beneficios a largo plazo para el pueblo de California, necesitamos involucrar a la industria.

Categoría: Se crearon dos nuevas sociedades. También hemos logrado un repunte en la participación de la industria con investigadores académicos antes de la solicitud a CIRM.

En CIRM, cada momento cuenta

"Ella es valiente y luchadora. Pienso en ella como una niñita normal que nació en circunstancias extraordinarias y que tuvo médicos extraordinarios que la curaron, lo cual es asombroso."

Nacida con una inmunodeficiencia combinada grave (SCID, por sus siglas en inglés) o "síndrome del niño burbuja", Evangelina tenía un sistema inmunológico que no funcionaba, dejándola vulnerable a infecciones.

Como parte de un ensayo clínico en UCLA, ella se sometió a un trasplante de células madre que tomó las células madre de su propia sangre, las rediseñó genéticamente y se las devolvió a su cuerpo. Estas células madre rediseñadas reconstruyeron el sistema inmunológico de Evangelina.

Sus padres sabían que esto era un ensayo y podría no ser una cura, que era un experimento. Creían que no tenían ninguna otra opción que esta.

El tratamiento funcionó. Lentamente, constantemente, Evangelina se recuperó y fortaleció. Su madre dijo:

"Evangelina tenía alrededor de 2 años de edad cuando finalmente nos animamos a llevarla a lugares públicos. Habíamos pasado tanto tiempo preocupándonos de que estuviera expuesta a gérmenes, que nos llevó un tiempo desacostumbrarnos a esto. El momento crítico fue nuestra visita a Disneylandia cuando ella y su hermano gemelo tenían tres años de edad. Los dejamos tocar todo. Mi esposo y yo nos moríamos por dentro, pero ellos la pasaron muy bien. Ha sido increíble. La miro todos los días y pienso: 'Ella es un milagro'.

Evie es mi súper niñita genéticamente modificada."

Evangelina Padilla Vaccaro

2012: Diagnosticada al nacer con una inmunodeficiencia combinada grave (SCID), un raro trastorno genético – y frecuentemente mortal.

2016: CURADA

Nuestro compromiso total

En CIRM trabajamos todos los días como si la vida dependiera de nuestra labor, porque así es. Cada miembro de nuestro equipo, desde el consejo a nuestros examinadores expertos, tiene la misma dedicación a nuestra misión, ese mismo compromiso de hacer todo lo posible para ayudar a los pacientes. De vez en cuando, honramos y celebramos a aquellos que ejemplifican ese compromiso y reflejan la urgencia y pasión de nuestro equipo de primera categoría con el "Game Ball" (premios a la excelencia en el desempeño) de CIRM.

Ganadores del "Game Ball" de CIRM del año 2016

Kent Fitzgerald—por ayudar por cuenta propia a hacer avanzar un proyecto de investigación de la etapa de descubrimiento a la de traducción.

Doug Kearney—por lanzar los primeros seis contratos de otorgamientos CIRM 2.0 en tiempo récord.

Jennifer Mielnicki—por llegar a un hito del contrato aparentemente imposible, en el que consiguió que se realizara una investigación que ya está en marcha, más pronto de lo que pensamos que era posible.

Kevin McCormack—por estar siempre dispuesto a decir "sí, absolutamente", sin importar cuál sea el desafío.

Karen Ring—por crear las tarjetas de clasificaciones que nos dan un recordatorio extremadamente visual de cuáles son las metas y qué tan cerca estamos de lograrlas.

Sheila Tennyson (ganadora dos veces)—por hacer que la mudanza de CIRM, de San Francisco a Oakland, sea sin dificultades, y por su decisión tenaz de ser una buena oradora pública.

Rahul Thakar—por desarrollar una manera más eficaz de escribir resúmenes de revisión de subvenciones, permitiendo que los solicitantes obtengan comentarios con más rapidez y hagan ajustes para volver a presentar la solicitud lo más rápidamente posible.

INCANSABLE

Pat Furlong
Defensora de pacientes

Ganadora del "Game Ball" de CIRM del año 2016

Pat Furlong es la presidente fundadora y directora general de Parent Project Muscular Dystrophy (Proyecto de Padres sobre la Distrofia Muscular), la organización más grande sin fines de lucro de los Estados Unidos, enfocada únicamente en la distrofia muscular de Duchenne.

Su meta es simple: Cambiar el curso de Duchenne y, finalmente, encontrar una cura.

La distrofia muscular Duchenne es el trastorno genético fatal más común. Es un trastorno muscular progresivo que lleva a la pérdida de la función en los músculos del cuerpo, incluyendo el corazón. No existe una cura.

Cuando los médicos diagnosticaron a sus dos hijos, Christopher y Patrick, con Duchenne, en 1984, Pat no aceptó que le dijeran que "no había esperanza y poca ayuda". Pat se sumergió en Duchenne, esforzándose por entender la patología del trastorno, el alcance de la inversión en la investigación y los mecanismos para una atención óptima.

Sus hijos perdieron su batalla contra el Duchenne en sus años de adolescencia, pero ella continúa luchando – en su honor y para todas las familias afectadas por Duchenne.

Hoy en día, CIRM está financiando un ensayo clínico en el que se utilizan células madre del corazón para tratar problemas cardíacos causados por la distrofia muscular Duchenne.

> *"Para mí, permanecer en esta lucha es poder decirle a Chris y Pat, en donde estén en el universo, que cuando ustedes estaban aquí, hice todo lo posible, y cuando ya no estaban continué haciendo todo lo posible para que otros tuvieran las ventajas que ustedes no pudieron tener."*

Nuestro esfuerzo total

Invertir en la próxima generación de científicos de células madre crea una fuerza de trabajo capacitada para California y asegura que el Estado tenga talento disponible para continuar la búsqueda de curas. En total, hemos ayudado a 2432 personas a perseguir sus sueños – sueños que de otra manera no se hubieran convertido en realidad – así como hemos apoyado a decenas de miembros académicos jóvenes mientras establecían sus carreras en California. En CIRM, NOS ESFORZAMOS LO MÁS POSIBLE para hacer realidad nuestra misión.

Estudiantes de la escuela secundaria

Los estudiantes de la escuela secundaria que estén interesados en una carrera en ciencias pueden obtener una ventaja para materializar sus sueños con SPARK, para abreviar el Programa de Verano para Acelerar el Conocimiento de la Medicina Regenerativa. Apoyamos a los estudiantes de la escuela secundaria, en toda California, en prácticas de verano en investigación de células madre, en laboratorios de investigación, en instituciones prominentes de California. En años anteriores, les hemos pedido a esos estudiantes que nos mostraran el valor de sus experiencias en blogs, videos e imágenes.

Estudiantes universitarios y de maestrías

Para nuestros estudiantes de nivel universitario y maestría, los otorgamientos por investigación de células madre "Bridges" (Bridges to Stem Cell Research Awards) proveen cursos y prácticas en escuelas y centros de estudios superiores del Estado de California, seguidos de pasantías pagadas en las principales universidades y laboratorios de células madre de las industrias estatales. Estos programas capacitan a científicos jóvenes para ocupar trabajos en el sector cada vez mayor de la investigación de las células madre de California, llenando un vacío previsto tanto por California Life Sciences Association (Asociación de Ciencias Vivas de California) como por California Public Policy Institute (Instituto de Política Pública de California). Los primeros graduados de los programas ya están siendo contratados en puestos de técnicos capacitados para investigaciones, y muchos de ellos están siendo aceptados en facultades médicas y de posgrado.

Estudiantes de posgrado

Nuestra primera serie de financiación en 2006 fue para apoyar las subvenciones de capacitación, a fin de asegurar que California tuviera científicos con la capacitación necesaria para desarrollar tratamientos basados en células madre. Estos otorgamientos apoyaron a estudiantes de posgrado a llevar a cabo una investigación de células madre en instituciones de California. Muchos de los que reciben las subvenciones han llegado a comenzar sus propios laboratorios de investigación de células madre como miembros académicos y están impulsando avances de la próxima generación en tratamientos con células madres.

Otorgamientos para nuevos miembros del plantel académico

Aunque hayan terminado su educación formal, los nuevos miembros del plantel académico necesitan apoyo mientras abren sus laboratorios. El CIRM ha provisto una fuente estable de financiación para algunos de los mejores miembros jóvenes del plantel académico por medio de nuestros otorgamientos para nuevos miembros de plantel académico, que los ha ayudado a establecer sus programas de investigación de células madre en California.

Día del descubrimiento

Parte de un festival público de ciencias que dura una semana y que atrae a decenas de miles de asistentes. El CIRM utiliza actividades interactivas para explicar la biología de las células madre a niños de todas las edades, aprovechando la oportunidad para hablar con sus padres sobre el progreso que está haciendo el CIRM para que avance el campo de la medicina regenerativa.

Súper exhibición de células madre

Una premiada exhibición interactiva de alta tecnología que ayuda a enseñarle a niños de 6 a 14 años de edad (así como a sus padres), sobre la biología de las células madre y el potencial que tienen de transformar la medicina.

Eventos itinerantes

Una serie de eventos que se realizan en toda California para informar a la industria y al mundo académico sobre las oportunidades de financiación en CIRM. Diseñado para "reintroducir" a CIRM – y todo lo que la agencia de células madre puede hacer – incluyendo la colaboración con investigadores para proveerles la mejor probabilidad de éxito posible.

Red de clínicas de células madre "Alpha"

La red de clínicas de células madre "Alpha" tiene una sola meta unificadora: acelerar el desarrollo y la entrega de tratamientos con células madre a pacientes. Para lograr esta meta, CIRM ha financiado tres clínicas enfocadas en células madre, que están ubicadas en centros médicos existentes. Esta red de clínicas atraerá y llevará a cabo ensayos de alta calidad:

- Junto con pacientes
- En colaboración con investigadores nacionales e internacionales
- En asociación con el mundo académico y la industria
- Dentro de centros médicos y académicos de primera calidad
- Con los más altos estándares para la atención de pacientes y la investigación
- Con recursos que fomenten la eficacia, la aceleración y las probabilidades de éxito

La clave del éxito de la red de clínicas de células madre "Alpha" es su capacidad de aprovechar los puntos fuertes de cada clínica en particular, a fin de que juntas formen una red eficaz y sustentable que atraiga y lleve a cabo ensayos clínicos de alta calidad. Las clínicas apoyan tanto ensayos clínicos financiados por CIRM como no financiados por CIRM.

Capacitando a los científicos del mañana

Día del descubrimiento

Conectando la ciencia de las células madre a la educación superior

ALS Walkathon

Súper exhibición de células madre

NUESTRA DETERMINACIÓN

es firme. Nuestro propósito claro.

Estamos motivados.

Compromiso pleno y total

Hacer más. Más rápido. Mejor.

Lograr todo lo que sea posible,

no para nosotros sino para aquellos

que más nos necesitan.

Cada momento *cuenta*

CIRM
AGENCIA DE CÉLULAS MADRE DE CALIFORNIA

1999 Harrison Street, Suite 1650
Oakland, CA 94612

www.CIRM.ca.gov
510 340-9101

VALENTÍA Y VISIÓN HECHAS REALIDAD

Evangelina Padilla Vaccaro
Diagnosticada previamente con la enfermedad de inmunodeficiencia combinada grave

Brenden Whittaker
Diagnosticado previamente con la enfermedad granulomatosa crónica grave

Este año, no podría haber un mejor ejemplo de hacer realidad la valiente visión del Dr. Donald Kohn que las increíbles historias de éxito de Evangelina y Brenden, que sufrieron enfermedades previamente incurables.

El programa clínico de Evangelina surgió de la subvención de financiación educacional de CIRM, y el tratamiento de Brenden se financió por medio de una subvención para ensayos clínicos. Estas dos historias exitosas sirven como poderosos ejemplos finales de lo que representa el impacto que tiene el uso de todo el potencial de los programas de inversión para satisfacer necesidades médicas no cubiertas.

Es por eso que en CIRM *estamos comprometidos y nos esforzamos lo más posible para lograr la meta.* Porque cada momento cuenta.

Source URL: https://www.cirm.ca.gov/about-cirm/informe-anual-2016