

IMPULSANDO  
**UN IMPACTO  
EN LA COMUNIDAD**



**Ciencia**

de primera  
categoría

**Soluciones**

para el  
mundo real



# MISIÓN

Acelerar una ciencia de primera categoría para ofrecer tratamientos regeneradores y transformadores, de manera equitativa, a una California y un mundo diversos.

El pueblo de California creó el Instituto para la Medicina Regenerativa (The California Institute for Regenerative Medicine, CIRM) cuando aprobó la Proposición 71 en 2004. La aprobación de la Proposición 14 en 2020 renovó nuestra financiación y aseguró que nuestro trabajo pudiera continuar. Honramos la confianza que el pueblo de California ha depositado en nosotros y nos esforzamos por cumplir nuestra misión.

Colaboramos con los defensores de pacientes, las comunidades, el ámbito académico y la industria, para ofrecer la medicina regenerativa más prometedora al pueblo de California y al mundo.

Con una financiación de \$5.5 mil millones y más de 237 programas activos de terapia génica y con células madre, el CIRM es una de las instituciones más grandes del mundo dedicada a brindar terapias génicas y con células madre para los pacientes que las necesiten.

➤ En la portada destacamos a Evie, uno de los participantes en un ensayo clínico financiado por CIRM, que aparece allí con su perro y aquí con su pareja, Danielle.

Todas las fotos de Evie son cortesía de Jaquell Chandler

## Contenido

Misión.....	Interior de la portada
Cartas ejecutivas.....	2
Principios estratégicos.....	3
Fomentando una ciencia de primera categoría.....	4
Brindando soluciones para el mundo real.....	8
Dándole una oportunidad a todos.....	16
El pueblo está fortaleciendo al CIRM.....	20
Valores numéricos.....	22

## IMPACTO EN LA COMUNIDAD

En el CIRM, sabemos que es importante honrar, respaldar y tener un efecto positivo en las muchas comunidades que atendemos. Esperamos que este informe demuestre nuestro continuo compromiso de fomentar una ciencia que brinde nuevos tratamientos y curas para los pacientes con necesidades médicas no cubiertas.

Inaugurar las terapias celulares y génicas del siglo XXI, en una práctica clínica y ofrecerlas a los pacientes, implica unir a muchas comunidades diferentes, tales como investigadores, médicos y enfermeras, pacientes, defensores de pacientes, colaboradores industriales y muchos más. Al unir a estas comunidades y fomentar el reparto de información, la colaboración y los diversos conocimientos, haremos avanzar la medicina regenerativa, desde la investigación científica hasta la recuperación de los pacientes.

**Eso es impacto comunitario.**

## Cartas ejecutivas

Estimados habitantes de California,



Me parece oportuno comenzar esta carta con un sincero agradecimiento a todos ustedes, los habitantes de California, por haber aprobado la Proposición 14 en noviembre de 2020 y habernos permitido continuar la labor que comenzamos en 2004.

Hemos recorrido un largo camino en los últimos 18 años. El CIRM ha financiado directamente más de 80

ensayos clínicos y proporcionado respaldo temprano esencial a más de dos docenas de otros proyectos que resultaron en ensayos clínicos. Financiamos y respaldamos una fuente de investigación médica, desde el descubrimiento científico inicial hasta el desarrollo y las pruebas. Al mismo tiempo, estamos capacitando a una nueva generación de científicos de medicina regenerativa.

A pesar de nuestro avance significativo, reconocemos que debemos seguir esforzándonos mucho más. Estamos decididos a encontrar terapias innovadoras y asegurar un acceso equitativo a las mismas. Los tratamientos de una investigación financiada por el CIRM deben estar disponibles y ser asequibles para todo el pueblo de California. Nuestro nuevo grupo de trabajo para la accesibilidad y asequibilidad y el nuevo programa de asistencia para pacientes se están dedicando a este desafío decisivo.

California siempre ha sido un líder mundial. Sabemos que esta inversión tendrá un impacto en los habitantes de California y ayudará a proporcionar tratamientos para enfermedades que afectan a millones de personas de todo el mundo. Nuestro trabajo es local, nuestro impacto es global.

Saludos cordiales,

Jonathan Thomas, Ph.D., J.D.  
Presidente, Comité Independiente de Supervisión Ciudadana

Estimados amigos,

La gente del CIRM está motivada a lograr nuestra misión: acelerar una ciencia de primera categoría para brindar tratamientos de medicina regenerativa transformadora, de manera equitativa, a una California y a un mundo diversos. Hemos elaborado un plan estratégico y ambicioso para que nos guíe hacia un futuro exitoso.

Las tres áreas en las que nos enfocamos enmarcan nuestros esfuerzos para los próximos cinco años, a fin de fomentar una ciencia de primera categoría, ofrecer soluciones para el mundo real y darle una oportunidad a todos los californianos. Para lograr estas metas, expandimos nuestro equipo y estamos posicionando al CIRM para que enfrente los nuevos desafíos y las oportunidades emergentes.

Estamos tratando activamente de lograr las importantes metas de incorporar diversidad, equidad e inclusión en todos nuestros programas. Este informe presenta pasos fascinantes para establecer



lazos con las comunidades y los colaboradores, incluyendo científicos, profesionales de la salud, fabricantes de terapias celulares y génicas, y otros grupos industriales.

Nuestros programas clínicos están avanzando enormemente y nuestra clínica "Alpha" continúa logrando buenos resultados. Este informe comparte el impacto

genuino que tiene CIRM en la ciencia médica y en la vida de muchas personas. Sus historias nos motivan y nos brindan diariamente un nuevo propósito.

En resumen, nos honra continuar demostrando la innovación y el liderazgo de California, que tendrán un beneficio positivo y duradero en las comunidades que atendemos.

Atentamente,

María T. Millán, M.D.  
Presidente y directora general



**Fomentar**  
una ciencia de  
primera categoría

**Brindar**  
soluciones para el  
mundo real

**Proporcionar**  
oportunidades  
para todos

## PRINCIPIOS ESTRATÉGICOS DEL CIRM

El CIRM está entusiasmado por lograr nuestra misión. Nos hemos preparado para el éxito desarrollando un plan estratégico específico, mensurable y alcanzable que nos servirá como mapa de ruta durante los próximos cinco años.

Nuestro plan estratégico se basa en tres principios rectores: fomentar una ciencia de primera categoría, brindar soluciones para el mundo real y proporcionar oportunidades a los californianos. La decisión de considerar estos principios como el centro de nuestro plan es resultado de una seria conversación con las partes interesadas de toda California y entre las comunidades de investigación científica y desarrollo de medicamentos.



# Fomentando una ciencia de primera categoría

El CIRM apalancará el conocimiento científico colectivo para inspirar una investigación colaborativa que aborde las necesidades médicas no cubiertas de los californianos.

El campo de la medicina regenerativa está avanzando con rapidez, pero la tendencia de la investigación biomédica a suceder en silos—con pocas oportunidades estructuradas de compartir conocimiento, experiencia y datos—está dificultando un avance aún más rápido. Estamos creando activamente programas que promueven el reparto de datos y recursos, así como incluyendo diversos conocimientos y perspectivas.

## Abordando los trastornos neurológicos

Desde la aprobación de la Proposición 14 en noviembre de 2020, hemos invertido más de \$88 millones en 23 proyectos para enfermedades y trastornos que afectan al sistema nervioso central (CNS, por sus siglas en inglés), el cual incluye el cerebro, los ojos y la médula espinal. Esta inversión en el CNS representa el 32.5% de la financiación de investigación y desarrollo del CIRM que abarca programas clínicos, traslacionales y de descubrimiento.

Estamos comprometidos a invertir por lo menos \$1.5 mil millones—más del doble de lo que financiamos entre 2006 y 2020—en tratamientos que se enfocan en enfermedades del CNS, tales como epilepsia, esclerosis múltiple, Parkinson y Alzheimer, así como apoplejía, migraña y otros trastornos del cerebro.

Cuando Neurona Therapeutics, respaldada por el CIRM, trató al primer paciente en su ensayo clínico por una forma de epilepsia resistente a los medicamentos, marcó un hito significativo para la compañía que culminó 20 años de investigación. Para el CIRM, esto destacó el impacto de nuestra inversión de \$14 millones que abarca programas de investigación en las etapas clínicas, traslacionales y de descubrimiento, destacando nuestro compromiso de llevar la ciencia más prometedora del laboratorio al paciente.



El Dr. Saravanan Karumbayaram aparece trabajando en un laboratorio compartido en UCLA. Las redes de información y los centros de competencia del CIRM respaldarán tanto la investigación en curso como los nuevos conceptos creativos para muchos, incluyendo al Dr. Karumbayaram y a la Dra. Leslie Thompson de UC Irvine (foto a la izquierda).



Esta foto es cortesía de UCLA

## Creando una cultura de colaboración

El CIRM fomenta dos iniciativas clave—redes de información y centros de competencia—para crear una amplia cultura de colaboración, con el propósito de impulsar la investigación y producir un impacto en la salud humana.

### Redes de información

Con demasiada frecuencia, la investigación se lleva a cabo aisladamente y las lecciones aprendidas por un científico no se comparten con los demás. Las redes de información ayudarán a asegurar que la información y los datos generados por los proyectos de investigación financiados por el CIRM se compartan con otros científicos e investigadores.

### Centros de competencia

Los centros de competencia son entornos de colaboración que alientan el acto de compartir recursos, experiencia y capacitación. Como permiten que los investigadores trabajen juntos, con un enfoque de equipo-ciencia, los centros de competencia acelerarán el descubrimiento y desarrollo de terapias.



# Develando los secretos del ratoncito de los dientes



◀ Alysson Muotri, M.D. Investigador financiado por el CIRM

La foto es cortesía de UC San Diego

➤ El Dr. Muotri utiliza células madre para crear organoides: estructuras que imitan al cerebro. A la derecha y abajo a la izquierda aparecen cultivos de organoides cerebrales. Abajo, en el centro y a la derecha, pueden verse imágenes de células madre pluripotentes inducidas, que han sido impulsadas a formar organoides (centro) o puestas en placas para diferenciarse en neuronas individuales (derecha).

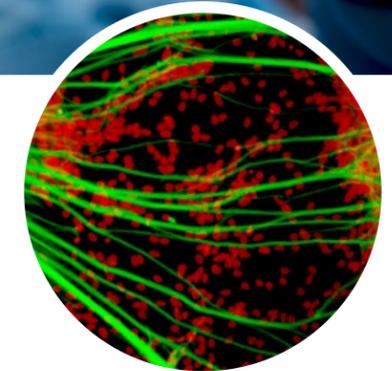
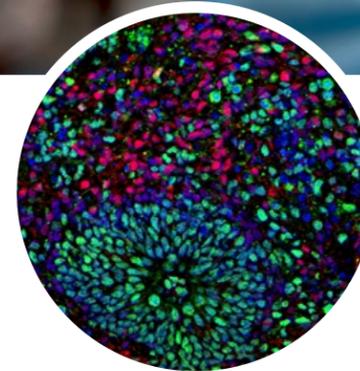
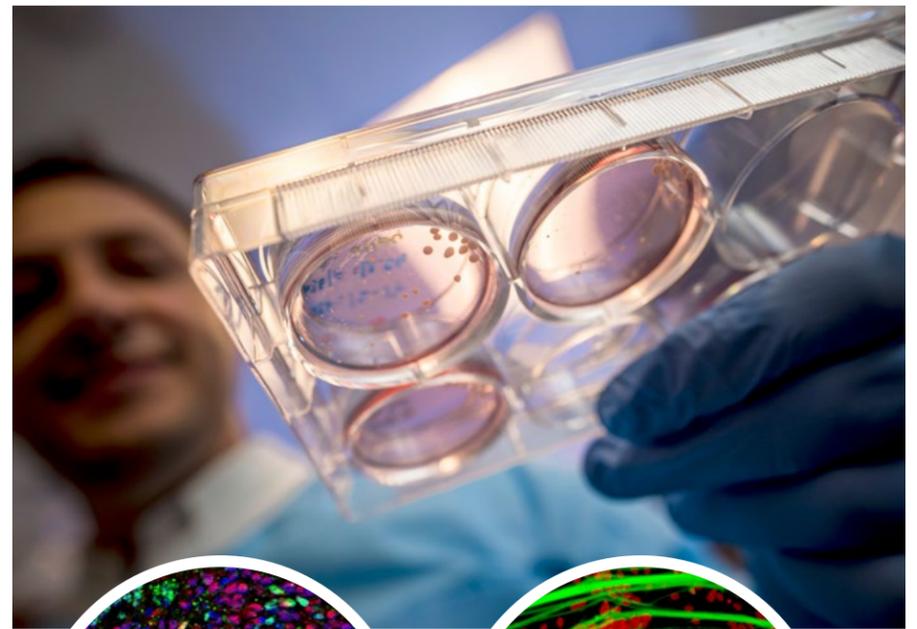


Foto: Erik Jepsen, UC San Diego

Para el Dr. Alysson Muotri, profesor de pediatría y medicina celular y molecular en la Universidad de California, San Diego, tratar de revelar los secretos del cerebro no es solo un asunto de curiosidad científica, es personal. Él tiene un hijo con trastorno de espectro autista (ASD, por sus siglas en inglés), que se produce por diferencias en el cerebro. El Dr. Muotri se compromete a encontrar maneras de ayudar a su hijo y a millones de otros como él, a reducir los síntomas que interfieren en sus actividades diarias y su calidad de vida.

El Dr. Muotri creó el proyecto del ratoncito de los dientes. Los padres donaron dientes de leche de niños con ASD y él tomó células de esos dientes y las convirtió en el tipo de células cerebrales afectadas por el autismo. El Dr. Muotri está utilizando esas células para identificar características del cerebro que puedan estar relacionadas con el autismo.

El Dr. Muotri también está utilizando células madre para crear estructuras cerebrales que imitan ciertos actos y actividades del cerebro. Él las utiliza para adquirir un conocimiento más profundo de cómo funciona el cerebro y para evaluar la seguridad de los medicamentos antes de probarlos en seres humanos.

Él dice que todavía se entusiasma viendo cómo funcionan estas células. "Es increíble. Es un milagro. Cada vez que lo veo, es como ver a delfines en el mar porque es tan bello".



# Brindando soluciones para el mundo real

El CIRM está superando impedimentos decisivos con el propósito de acelerar la aprobación de terapias para todos los pacientes.

La travesía desde el descubrimiento temprano y los ensayos clínicos hasta los tratamientos médicos comercialmente disponibles es prolongada, costosa y está llena de obstáculos. El CIRM aborda estos obstáculos mientras se relaciona activamente con todos los californianos, incluso comunidades que antes se habían pasado por alto. Para hacerlo, estamos expandiendo nuestra red de clínicas "Alpha", creando centros comunitarios de competencias especiales y abordando los impedimentos en la fabricación, para poder brindar estas terapias al público.

➤ Ja'Ceon (que aparece arriba en un círculo), nació con un raro trastorno inmune frecuentemente mortal llamado inmunodeficiencia combinada grave (SCID, por sus siglas en inglés). En 2017, él participó en un ensayo clínico financiado por el CIRM a través de la Universidad de California, San Francisco (UC San Francisco) que corrigió la mutación genética que causa el SCID. Ahora tiene un nuevo sistema inmune y está disfrutando de la vida. Evangelina (derecha) participó en un ensayo clínico similar de SCID en 2012, en UCLA. Hoy en día, es una niña aventurera y saludable de 10 años de edad.

## Expandiendo la investigación biológica básica

El descubrimiento o la investigación biológica básica es la etapa en que los investigadores elaboran y se dedican a conceptos creativos, ingeniosos e innovadores.

El CIRM creó los Premios de la Fundación "DISC-0" para tener la oportunidad de lograr descubrimientos médicos innovadores en etapas más tempranas. Estos premios respaldan la investigación básica que explora los vacíos en nuestro conocimiento sobre las enfermedades y cómo podemos acceder mejor al potencial de las células madre y la genómica.



City of Hope | UC Irvine/ UC Los Angeles | UC San Diego | UC Davis | UC San Francisco | Próximamente futuros sitios



## CIRM CLÍNICAS "ALPHA"

Ofreciendo tratamientos para pacientes



La foto es cortesía de City Of Hope

➤ La tarea de las clínicas "Alpha" del CIRM es convertir años de investigación en tratamientos para pacientes en el mundo real. Aquí se pueden ver miembros del personal de la clínica "Alpha" de City of Hope.

MÁS DE **1,000** PARTICIPANTES

MÁS DE **200** ENSAYOS CLÍNICOS

**40** ENFERMEDADES

INVERSIÓN DE **\$80** MILLONES

## Clínicas "Alpha" DEL CIRM

Desarrollar un tratamiento con células madre o una terapia génica puede llevar años y hasta décadas de investigación científica. Aplicar esa terapia a un paciente también puede ser un desafío, a menos que el paciente esté en un centro médico que tenga personal capacitado y experimentado para proveer esta atención. La red de clínicas "Alpha" del CIRM incluye cinco instalaciones médicas de primera categoría con una meta común de optimizar y acelerar la aplicación de las terapias génicas y con células madre a las personas que las necesiten.

Por ejemplo, la red de clínicas "Alpha" del CIRM jugó un papel en el trasplante de células madre a la sangre, en City of Hope, que ayudó a un hombre diagnosticado con VIH en 1988 a entrar en una remisión de larga duración. Esta es solo la quinta vez que ha sucedido algo así.

Hasta la fecha, las clínicas "Alpha" han llevado a cabo más de 200 ensayos clínicos, abordando 40 enfermedades diferentes, que incluyeron a más de 1,000 participantes. El modelo de las clínicas "Alpha" está demostrando ser tan exitoso que el consejo del CIRM aprobó invertir \$80 millones adicionales para expandir la red y aumentar su capacidad para ayudar a pacientes en todo el estado.

## Colaborando para avanzar

Más allá de financiar investigaciones importantes, el CIRM facilita colaboraciones únicas entre investigadores académicos, tecnología médica y compañías de desarrollo de medicamentos, a fin de ayudar a incentivar el avance de posibles tratamientos para pacientes basados en células y genes.



Las conexiones entre los proyectos de investigación financiados por el CIRM y el sector más amplio de la medicina regenerativa ayudan a profundizar el impacto de la financiación del CIRM en la investigación de la medicina regenerativa. Los proyectos de investigación financiados por el CIRM atrajeron más de \$23.4 mil millones en una inversión adicional de colaboradores industriales.

Los proyectos de investigación académica, financiados por el CIRM, crearon o se expandieron en por lo menos 50 empresas emergentes, muchas de las cuales están desarrollando activamente la industria de la medicina regenerativa de California, proporcionando trabajos y contribuyendo a la vitalidad económica del estado.

El programa de alianzas industriales del CIRM conecta compañías biofarmacéuticas e inversores en biotecnología con programas de investigación de células madre, genes y medicina regenerativa en nuestra cartera de valores, para ayudarlos a avanzar por medio de un desarrollo adicional.

Hace poco expandimos el programa de alianzas industriales para ayudar a que los recursos industriales fueran más accesibles para proyectos financiados

## Financiación industrial

por el CIRM y promover que se comparta el conocimiento dentro de la comunidad de la medicina regenerativa. El CIRM trabajará con los colaboradores de recursos industriales para que su experiencia y sus tecnologías, recursos y servicios estén disponibles para los investigadores financiados por el CIRM, a fin de ayudar a acelerar el descubrimiento, desarrollo y comercialización de las terapias de medicina regenerativa. Se lanzó el programa de colaboradores de recursos industriales con cuatro colaboradores iniciales: Novo Nordisk, Bayer, ElevateBio y Resilience.

Por medio de eventos de colaboración, seminarios en línea (webinars) informativos, talleres de trabajo y reuniones que crean foros para los investigadores financiados por el CIRM y la industria en su conjunto, se habla sobre las mejores prácticas y se superan los impedimentos en temas técnicos y comerciales en el campo de la medicina regenerativa que crece y se desarrolla rápidamente.



### Colaboradores del programa de alianzas industriales:

### Compañías derivadas:



## Aumentando la capacidad de fabricación para la medicina regenerativa

Desarrollar tratamientos para las enfermedades que carecen de una cura conocida solo ayudará a los pacientes si los tratamientos están a su disposición. Producir o fabricar estos tratamientos a gran escala es un componente decisivo del ecosistema de la medicina regenerativa.

El aumento de la cantidad de terapias celulares y génicas que pasan por el proceso de ensayo clínico significa que también aumentará la futura demanda de tratamientos de alta calidad rigurosamente comprobados. Y, como cada una de las terapias es única, una gran presión recae en las instalaciones existentes de fabricación para que cubran la demanda.

El CIRM está desarrollando una red de fabricantes de medicina regenerativa en California con capacidad para producir productos consistentes, seguros y confiables, basados en células y genes, necesarios para tratar a pacientes aquí y en todo el mundo. Este enfoque de colaboración que conecta la investigación, el desarrollo y la fabricación, aumenta la probabilidad de que las terapias obtengan la aprobación regulatoria. La red también ayudará a desarrollar, educar y capacitar a una diversa fuerza de trabajo californiana para que lleve a cabo esta tarea vital.

### Terapia génica

El CIRM está colaborando con la Fundación para los Institutos Nacionales de Salud (Foundation for the National Institutes of Health), con el propósito de unirse al Consorcio de Terapia Génica "Bespoke" (Bespoke Gene Therapy Consortium, BGTC), una colaboración pública-privada que une a los Institutos Nacionales de Salud, la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos y múltiples organizaciones del sector público y privado, para optimizar el desarrollo y la entrega de terapias génicas para enfermedades raras. Creemos que el BGTC es una colaboración extremadamente importante que puede fomentar terapias, especialmente para enfermedades raras que actualmente carecen de un tratamiento eficaz.



## Tratando malformaciones congénitas antes del nacimiento

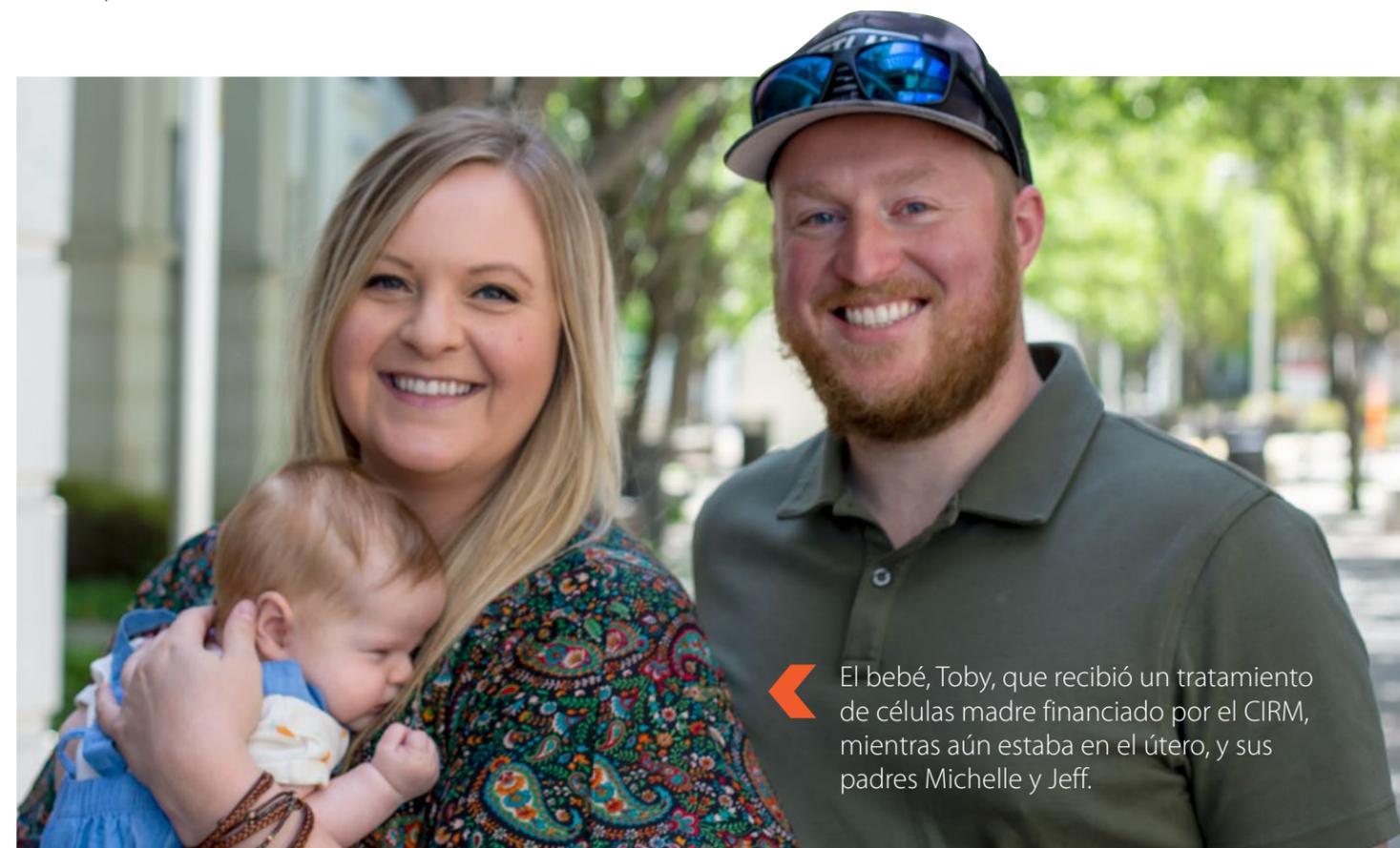
Michelle y Jeff se llenaron de felicidad cuando se enteraron de que iban a tener un bebé. Luego, un examen de ultrasonido a las 20 semanas del embarazo reveló que el feto tenía espina bífida, una malformación congénita que ocurre cuando la columna vertebral y la médula espinal no se forman de manera adecuada. La espina bífida puede causar parálisis y otras complicaciones serias.

Se derivó a la pareja a un ensayo clínico en la Universidad de California, Davis, que lleva a cabo la Dra. Diana Farmer, cirujana fetal y neonatal reconocida a nivel internacional, y su colega, el Dr. Aijun Wang. En este ensayo clínico, que se basó en una previa investigación financiada por el CIRM, se repara el defecto espinal aplicando células madre de una placenta donada, las cuales se insertan en

una estructura sintética y se aplican al defecto de la médula espinal mientras el bebé se encuentra todavía en el útero.

El hijo de Michelle y Jeff, Toby, fue el segundo paciente que recibió este tratamiento. Michelle dijo que la cirugía fue difícil, pero el nacimiento de su bebé valió la pena. "Cuando lo abrazamos por primera vez dijimos, 'No puedo creer que hayamos hecho esto. Lo logramos. Lo hicimos sin saber si funcionaría.'"

A los tres meses, el progreso de Toby parece promisorio. Jeff y Michelle saben que pueden surgir problemas más adelante, pero por ahora se sienten agradecidos de haber formado parte de este ensayo.



El bebé, Toby, que recibió un tratamiento de células madre financiado por el CIRM, mientras aún estaba en el útero, y sus padres Michelle y Jeff.

## Abordando la enfermedad de células falciformes desde adentro

Evie (derecha) nació con la enfermedad de células falciformes, la cual pone en riesgo la vida y es extremadamente dolorosa, y afecta aproximadamente a 100,000 estadounidenses, la mayoría de ellos de color y latinos. A nivel mundial, alrededor de 25 millones de personas tienen el gen responsable por el problema.

Las personas con la enfermedad de células falciformes tienen glóbulos que son frágiles y con forma de gancho (o de hoz) más que lisos y redondos. En vez de fluir fácilmente a través de las venas y arterias, las células en forma de hoz pueden producir obstrucciones causando dolor intenso, daño a los órganos y apoplejía.

A los 18 años de edad, Evie tenía crisis de dolor fuerte una o dos veces por mes y muchas veces terminaba en el hospital. El problema que tenía impidió su carrera futbolística en la preparatoria y le costó una beca universitaria. A los 20 y pico de años, Evie estaba constantemente cansado y se esforzaba por mantener un trabajo.

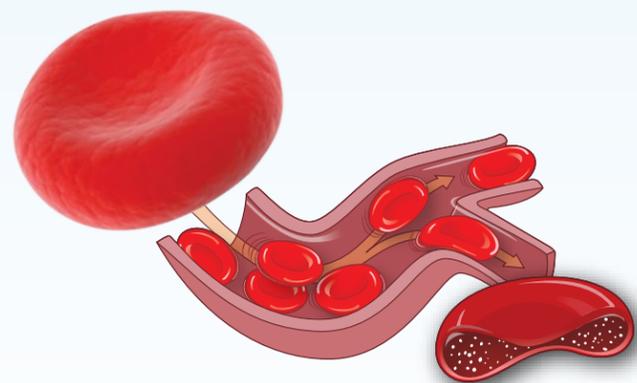
Entonces, participó en un ensayo clínico financiado por el CIRM. El Dr. Don Kohn, investigador y profesor de la Universidad de California, Los Ángeles, y su equipo recolectaron células madre formadas en la sangre de Evie y, en el laboratorio, insertaron un gen que impedía la producción de células falciformes. Se le devolvieron esas células modificadas a Evie para crear un nuevo suministro de sangre. Dos años después, Evie dice que no ha tenido ninguna crisis de dolor que requiriera medicamentos o viajes a la sala de emergencias.

El CIRM ha invertido más de \$65 millones en 12 nuevos tratamientos posibles para la enfermedad de células falciformes, incluyendo cinco ensayos clínicos, y tiene una colaboración única con el Instituto Nacional del Corazón, el Pulmón y la Sangre (National Heart, Lung and Blood Institute), como parte de su iniciativa de cura de las células falciformes. La meta es ayudar a que todos los Evies de este mundo tengan la posibilidad de llevar una vida plena.



### Célula sanguínea normal

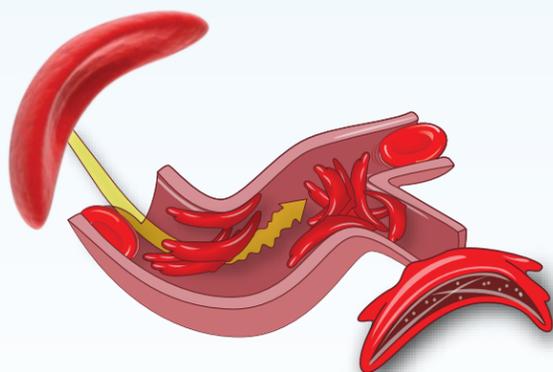
Glóbulos rojos saludables que fluyen libremente dentro de los vasos sanguíneos.



Redondos y de forma plegable de hemoglobina saludable

### Célula falciforme

Células falciformes anormales que bloquean el flujo sanguíneo, dentro de los vasos sanguíneos.



Hebras rígidas en forma de célula que producen una forma falciforme



# Proporcionando una oportunidad para todos

El CIRM está creando oportunidades de participación inclusiva para todas las partes interesadas, desde estudiantes y fuerza de trabajo, hasta pacientes.

Las diversas culturas y comunidades que hacen de California un gran estado también pueden hacer que la atención médica sea mejor para toda la población. Al infundir diversas perspectivas de la atención médica –de la investigación a la atención del paciente– el CIRM está ayudando a garantizar una experiencia inclusiva para todos.

## Educación y capacitación

El CIRM ofrece una selección de programas de educación y capacitación para desarrollar una fuerza de trabajo diversa que impulse el sector de la medicina regenerativa de California y aplique los nuevos tratamientos a los californianos de escasos recursos que los necesiten. Capacitar y educar a las personas de nuestro estado, que llegan de diversas formaciones, brinda nuevas perspectivas e ideas al campo de la medicina regenerativa.

Desde su comienzo, el CIRM se ha comprometido a apoyar a la próxima generación de investigadores, científicos e innovadores. Hemos ayudado a miles de personas talentosas –desde estudiantes de preparatoria y universitarios, hasta colegas de posgrado y clínicos– a adquirir una experiencia práctica de laboratorio, colaborando con investigadores de terapias génica y con células madre de primera categoría, aquí mismo en California.

El último programa del CIRM, COMPASS, identifica talentos no explorados dentro de las poblaciones que históricamente han estado poco representadas en la comunidad científica, les proporciona orientación culturalmente competente y los ayuda a desarrollar las habilidades necesarias en el campo cada vez mayor de la medicina regenerativa de California.



La foto es cortesía de Maziar Shah Mohammadi.

El CIRM está inspirando a estudiantes de todas las edades e invirtiendo en futuras generaciones de investigadores. Arriba, los estudiantes de la preparatoria “SPARK” están recorriendo las instalaciones de cultivo de células y escaneo avanzado de la Universidad de California, Berkeley (UC Berkeley). En la página opuesta, Alessandra Rodríguez y Baena, una ex alumna de “Bridges”, está esforzándose por obtener su doctorado en la Universidad de California, Santa Cruz (UC Santa Cruz).

Para todos. En todos lados.



**PORTAL DE EDUCACIÓN**

**SPARK**  
Preparatoria

**BRIDGES Y COMPASS**  
Licenciaturas y maestrías

**ACADÉMICOS**  
Graduados y de posgrado

**IMPACTO COMUNITARIO**

## Accesibilidad y asequibilidad

Para servir de verdad a la diversidad de California, las terapias celulares y génicas deben ser accesibles y económicas para todas las personas en el estado. Un nuevo equipo de política y asuntos médicos en el CIRM está esforzándose por lograr esta meta con nuestro nuevo grupo de trabajo para la accesibilidad y asequibilidad (AAWG, por sus siglas en inglés).

El AAWG identificará maneras de garantizar que todos –particularmente las comunidades de color y las comunidades de bajos recursos– tengan igual acceso a la atención necesaria. Los miembros del AAWG ofrecen una profunda pericia y experiencia al grupo, incluyendo conocimiento de los mundos de la política y la defensa de pacientes, el seguro médico, la atención médica, la industria farmacéutica y la filantropía. Ellos están bien versados en los desafíos que enfrentan los pacientes.

Por medio de la Proposición 14, se ha establecido un **fondo de asistencia para pacientes** a fin de cubrir el costo de los tratamientos desarrollados de una investigación financiada por el CIRM. Hasta la fecha, el fondo tiene \$15.6 millones. Se agregarán a la cuenta todas las futuras ganancias que surjan de la investigación financiada por el CIRM.

## Extensión comunitaria

Por ser un organismo estatal, el CIRM tiene la responsabilidad de mantener informado al pueblo de California sobre sus inversiones, el avance científico que estamos logrando y los beneficios económicos que nuestro trabajo brinda al estado. También tenemos un papel más amplio de llegar a las comunidades que, con frecuencia, en otros tiempos se han pasado por alto.

Nos esforzamos por ser una fuente confiable de información sobre las terapias génicas y con células

madre científicamente respaldadas y por abordar los temores y la desconfianza que estas despiertan en algunas personas.

Es por eso que hemos elaborado un nuevo plan de compromiso con la comunidad. Nuestro plan utiliza múltiples caminos para llegar a la mayor cantidad posible de personas, incluyendo a los medios de comunicación convencionales, los canales sociales, las charlas en persona y las presentaciones a través de organizaciones comunitarias tales como en Rotary Clubs, conectándonos con defensores de pacientes y participando en conferencias científicas.

El CIRM se está esforzando por encontrarse con las personas en el lugar donde estén. Colaboramos con personas y organizaciones de confianza en estas comunidades para ayudar a crear conciencia de las terapias génicas y con células madre.

◀ El CIRM participó en el desfile de "Pride", en San Francisco, para establecer relaciones y compartir la importancia de la medicina regenerativa en el tratamiento del virus de inmunodeficiencia humana (VIH)/síndrome de inmunodeficiencia adquirida (SIDA) y otras enfermedades.



## Una oportunidad única: impactando la vida de los demás.

El CIRM financia programas de capacitación en educación e investigación para dar a los estudiantes la oportunidad de explorar la ciencia de las células madre aquí mismo, en California.

Uno de estos proyectos, el programa de investigación de células madre "Bridges", ayuda a capacitar a futuras generaciones de científicos preparando a estudiantes de licenciatura y maestría de las universidades y centros de estudios superiores de California para carreras en investigación de células madre y medicina regenerativa. A fines de 2022, casi 1,800 aprendices de "Bridges" habrán finalizado este programa de pasantía financiado por el CIRM.

Como estudiante universitaria que se especializó en ciencias biológicas en la Universidad del Estado de California, Fullerton, Samira Alwahabi fue una de las participantes en el programa de pasantía de "Bridges" del año pasado. Ella finalizó su pasantía en el Laboratorio "Calvin Kuo" de la Universidad de Stanford. La experiencia, dice ella, fue realmente increíble.

**"Pude ser parte de una investigación innovadora de células madre y conseguí mentores y amigos increíbles dentro de la medicina académica que me impulsan para que sea la mejor versión de mí misma", dice Samira.**

Después de finalizar su pasantía el año pasado, Samira se graduó con un título en biología celular y del desarrollo. Ahora está trabajando como técnica en el Laboratorio "Kuo" y muy pronto solicitará ingresar a una facultad de medicina. Samira piensa convertirse en médica y utilizar su experiencia en investigación para entender mejor las innovaciones médicas que mejoran la calidad de atención de los pacientes.

◀ Samira Alwahabi (izquierda) y el colega académico del CIRM, Alan Napole, se graduaron de la Universidad del Estado de California (CSU, por sus siglas en inglés), Fullerton, con honores. Ambos planean ser médicos.

## Las personas que impulsan al CIRM



Cuando se aprobó la Proposición 14 en 2020, finalizó un largo período de incertidumbre sobre el futuro de la medicina regenerativa en California y en el mismo CIRM. Sin embargo, incluso durante ese tiempo de incertidumbre, el equipo del CIRM permaneció comprometido con nuestra misión.

Cuando el COVID nos forzó a trabajar desde casa, el equipo dio un paso adelante para cumplir con los nuevos desafíos de acelerar la investigación y el desarrollo de la medicina regenerativa. Además, le dimos la bienvenida a nuevos miembros del equipo, extraordinariamente talentosos, para ayudar a que avance nuestro trabajo.

A aquellos que se quedaron y a aquellos que se unieron más recientemente, les decimos muchas gracias.

# Valores numéricos

## 80 ensayos clínicos del CIRM

Los ensayos clínicos son el último paso en el camino hacia la aprobación de la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) de nuevas terapias para pacientes.

## 40 enfermedades/trastornos de salud

Proyectos de investigación para abordar una amplia gama de problemas de salud, desde artritis hasta la enfermedad de Alzheimer, el cáncer, la enfermedad cardíaca y la apoplejía.

## 3,400 participantes en ensayos clínicos

Pioneros que se anotaron y aceptaron ser parte de un ensayo clínico financiado por el CIRM.

## 31 paneles de asesoramiento traslacional (TAPs, por sus siglas en inglés) y paneles de asesoramiento clínico (CAPs, por sus siglas en inglés)

Paneles de asesoramiento traslacional y clínico que ayudan a que los investigadores financiados por el CIRM aceleren el desarrollo de sus terapias y anticipen futuros desafíos.

## 237 proyectos activos financiados por el CIRM

## 11 designaciones de terapias avanzadas de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés)

Se designaron los proyectos financiados por el CIRM, reconocidos por la FDA como terapias avanzadas de medicina regenerativa (RMAT), para acelerar la revisión de la medicina regenerativa por parte de la FDA.

## 5 clínicas "Alpha" del CIRM

Instalaciones médicas respaldadas por el CIRM, con personal experimentado en administración de terapias de medicina regenerativa. Las clínicas "Alpha" dirigieron más de 200 ensayos clínicos.

## Más de \$23 mil millones en colaboraciones industriales

Inversiones adicionales en una investigación financiada por el CIRM, de compañías biotecnológicas, farmacéuticas y otros colaboradores industriales.

## Más de 50 nuevas empresas emergentes

Cantidad de empresas emergentes con raíces en los proyectos de investigación financiados por el CIRM.

## 3,385 científicos capacitados de la próxima generación

Estudiantes de preparatoria y universitarios, candidatos de posgrado y colegas clínicos involucrados en los programas de educación y capacitación respaldados por el CIRM.

## Comité independiente de Supervisión de Ciudadanos (ICOC, por sus siglas en inglés): Guiando nuestra misión

Crear una nueva agencia estatal de la nada no es tarea fácil. Sin embargo, eso es lo que se les encargó al consejo del CIRM y al Comité Independiente de Supervisión de Ciudadanos (ICOC) después de que los votantes aprobaran la Proposición 71 en 2004. El consejo ayudó a elaborar las reglas, regulaciones, procedimientos y normas que guían el trabajo que hace el CIRM, garantizando que estemos a la altura de los mayores estándares éticos y que nunca perdamos de vista el avance de la ciencia y la ayuda a los pacientes.

La Proposición 14 agregó seis nuevos miembros a la ICOC, incluyendo enfermeras, expertos en salud mental y profesionales de partes del estado que no han estado anteriormente representados en nuestro consejo, agregando importantes y diversas perspectivas al CIRM.

### Miembros del ICOC

Jonathan Thomas, Ph.D., J.D.  
Senator Art Torres (Ret.), J.D.  
Haifaa Abdulhaq, M.D.  
Mohamed Abousalem  
Kim Barrett, Ph.D.  
Dan Bernal  
George Blumenthal, Ph.D.  
Linda Boxer, M.D., Ph.D.  
Carol Christ, Ph.D., M.Ph.  
Le Ondra Clark Harvey, Ph.D.  
Deborah Deas, M.D., M.P.H.  
Anne-Marie Duliege, M.D.

Ysabel Duron  
Mark Fischer Colbrie, M.B.A.  
Fred Fisher, MSW, LCSW  
Elena Flowers, Ph.D., R.N.  
Judith C. Gasson, Ph.D.  
Larry Goldstein, Ph.D.  
David Higgins, Ph.D.  
Stephen Juelsgaard, D.V.M., J.D.  
Rich Lajara  
Pat Levitt, Ph.D.  
Linda Malkas, Ph.D.  
Shlomo Melmed, M.D.

Christine Miaskowski, R.N., Ph.D., FAAN  
Lauren Miller Rogen  
Adriana Padilla, M.D.  
Joe Panetta  
Al Rowlett  
Marvin Southard  
Michael J. Stamos, M.D.  
Kristiina Vuori, M.D., Ph.D.  
Karol E. Watson, M.D., Ph.D., FACC  
Keith R. Yamamoto, Ph.D.

## Inversiones estratégicas

La misión y la estrategia del CIRM dependen de cinco áreas decisivas de inversión: infraestructura, educación, investigación de descubrimientos, investigación traslacional e investigación clínica. Cada una es un pilar esencial que permite que el CIRM fomente la investigación de terapias génicas y con células madre en cada nivel.

### Presupuesto para el año fiscal 2021-2022: \$474.3 millones

Fondos aprobados*	\$ 206,481,451
Fondos restantes	\$ 4,534,615,942
Saldo bajo administración activa	\$ 428,086,226
Cantidad de premios por proyecto activo	237

\* No incluye un presupuesto asignado de \$162.2 millones por premios pendientes para las clínicas "Alpha", COMPASS y los programas de DISC-0.

### Presupuesto aprobado para el año fiscal 2022-2023: \$426.7 millones



#### Infraestructura

\$80 millones

Nuestro programa de infraestructura construye centros reales y virtuales que proporcionan la experiencia, la información y los recursos necesarios para fomentar la misión del CIRM.



#### Educación

\$1.3 millones

Por medio de nuestros programas educativos, el CIRM está ayudando a capacitar a los académicos del CIRM, la próxima generación de científicos y técnicos de la medicina regenerativa, que son necesarios para fomentar el campo.



#### Descubrimiento

\$106 millones

Invertimos en investigaciones básicas o de descubrimiento que fomentan nuestro conocimiento de cómo funcionan las células madre y los genes, y exploran nuevos tratamientos y tecnologías para la terapia génica y con células madre.



#### Traslación

\$70.4 millones

El CIRM ayuda a que la mejor investigación al nivel de descubrimiento avance al siguiente nivel, estableciendo, apoyando y probando el trabajo fundacional requerido para las solicitudes de ensayos clínicos.



#### Clínico

\$169 millones

Estamos desarrollando una cartera de valores de primera categoría de Therapeutics (terapéutica) y apoyando cada uno de los proyectos con un panel consultivo clínico y otros recursos, para aumentar sus posibilidades de éxito en y durante los ensayos clínicos.

## Fortaleza generada por la adversidad

Regina Karchner siente que siempre ha sido defensora de pacientes con cáncer cerebral. Cuando tenía solo tres años de edad, su padre falleció de un tumor cerebral. A los 16 años, a Regina le diagnosticaron un cáncer cerebral. Mientras estaba hospitalizada, se enteró de la Fundación de Tumores Cerebrales de los Niños (CBTF, por sus siglas en inglés) y muy pronto se convirtió en voluntaria de la organización. Hoy en día, ha superado el cáncer y es asistente social clínica y coordinadora regional de CBTF.

Regina también sirve en el panel consultivo clínico (CAP) del CIRM, apoyando un ensayo clínico para niños con cáncer cerebral. Ella dice que tener un defensor de pacientes como ella en el equipo, para guiar el trabajo clínico de los proyectos de investigación financiados por el CIRM, es vital para el éxito de los ensayos clínicos.

"Ayudo a que los investigadores entiendan las necesidades del paciente y por qué las familias no se inscriben en los ensayos", dijo Karchner.

"Entre las familias de niños con tumores cerebrales con quienes trabajamos en CBTF, el 80% recibe beneficios de Medicaid. Solo un grupo selecto de personas tiene los recursos para participar en estos ensayos. Es por eso que es importante descubrir maneras para que los tratamientos sean económicos y accesibles para todos".



Regina Karchner, defensora de pacientes y miembro del panel consultivo clínico del CIRM.



Foto: Stanford Medicine

Crystal Mackall, M.D.

Directora fundadora del Centro de Terapia Celular para el Cáncer de Stanford, la Dra. Crystal Mackall está dirigiendo un ensayo clínico que está examinando un tratamiento para el glioma, un tumor cerebral devastador que ocurre principalmente en niños y adultos jóvenes. Los tumores de glioma casi siempre son mortales.

Hasta ahora, la terapia de radiación ha sido la principal opción de tratamiento, pero solo extiende la supervivencia a unos meses. La Dra. Mackall y su equipo están usando un enfoque revolucionario para tratar cánceres sanguíneos y adaptándolo para elaborar un enfoque de próxima generación, a fin de que sea efectivo contra los cánceres cerebrales no tratables. Ellos están modificando las propias células T del paciente (células del sistema inmune) con una proteína llamada célula receptora de antígenos quiméricos (CAR, por sus siglas en inglés). Estas células CAR-T recientemente creadas se volverán a introducir en pacientes, donde se espera que identifiquen y destruyan las células del tumor cerebral.

La foto es una cortesía de Nancy Ramos en Silver Eye Photography.

# CALIFORNIA STATE UNIVERSITY FULLERTON

Fortaleciendo  
el futuro

para todos.  
En todos lados.

El CIRM, Instituto para la Medicina Regenerativa de California, ofrece amplias oportunidades, especialmente a aquellos de comunidades con un limitado acceso a recursos. Samira Alwahabi, recientemente graduada de la Universidad y una de las ex participantes del programa "Bridges" del CIRM, es ahora investigadora en la Universidad de Stanford. Ella piensa ser médica y utilizar su conocimiento y experiencia cultural con el propósito de mejorar la atención de todos los pacientes. En todos lados.

**CIRM**  
CALIFORNIA'S STEM CELL AGENCY

[www.CIRM.ca.gov](http://www.CIRM.ca.gov)