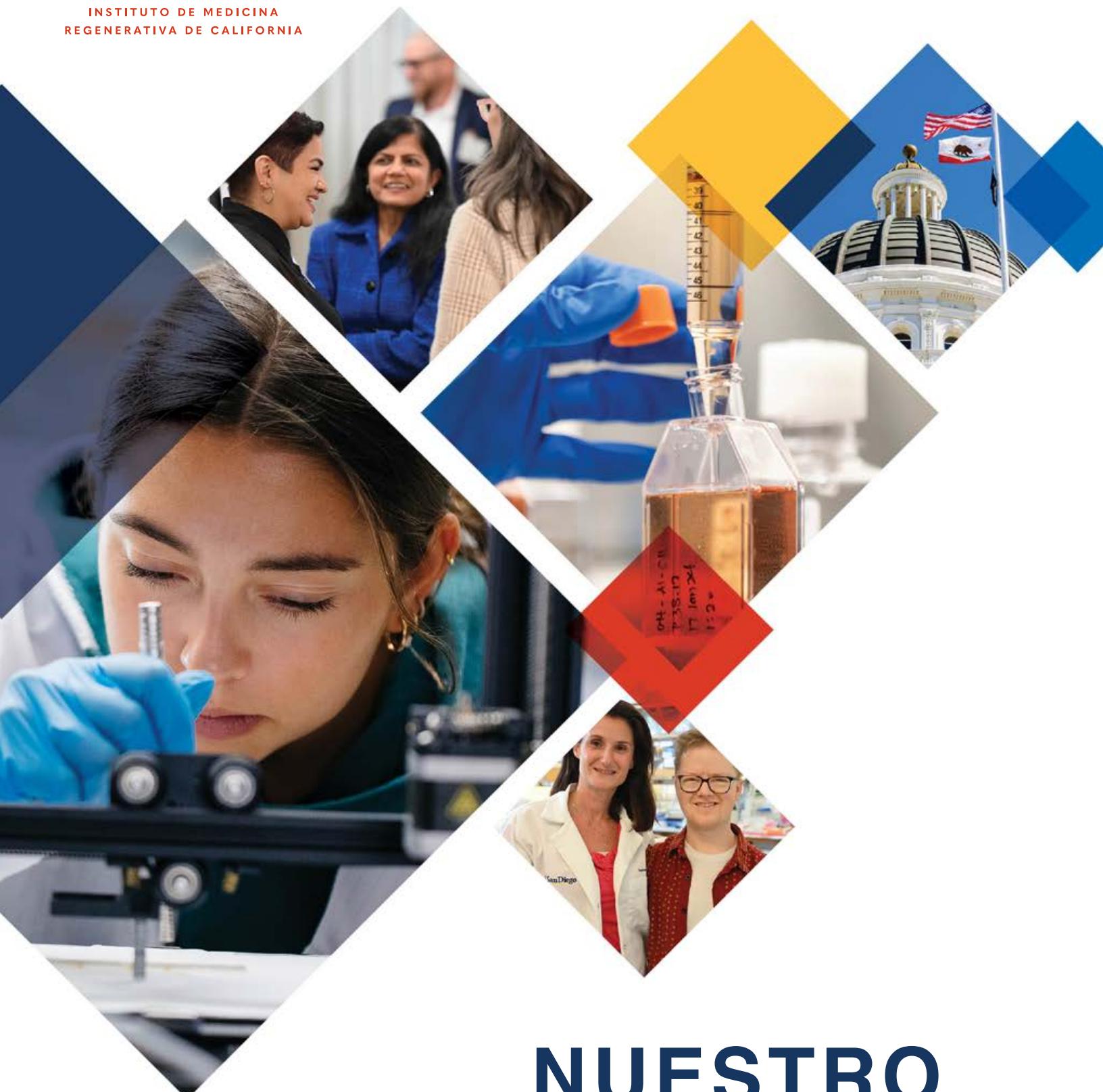


CIRM

INSTITUTO DE MEDICINA
REGENERATIVA DE CALIFORNIA

INFORME ANUAL 2025



NUESTRO FUTURO

IMPULSANDO LA VISIÓN
CIENTÍFICA DE CALIFORNIA



Misión

La misión del CIRM (Instituto de Medicina Regenerativa de California) es agilizar la ciencia de primer nivel para ofrecer tratamientos de medicina regenerativa transformadores de manera equitativa a una California y un mundo diversos.

Hace más de 20 años, los votantes de California hicieron historia al aprobar la Proposición 71, que creó el Instituto de Medicina Regenerativa de California: la primera agencia estatal dedicada a financiar la investigación con células madre y promover la medicina regenerativa.

Esta audaz aprobación e inversión por parte de los votantes puso en marcha la misión del CIRM de acelerar el desarrollo de terapias transformadoras y, al hacerlo, posicionó a California como líder mundial en medicina regenerativa. En 2020, los votantes reafirmaron su compromiso al aprobar la Proposición 14, que proporciona 5500 millones de dólares en fondos renovados para seguir abordando enfermedades con necesidades médicas

urgentes y no cubiertas.

Desde su creación, el CIRM ha acelerado el desarrollo de tratamientos innovadores, al tiempo que ha contribuido a crear un próspero ecosistema biotecnológico en todo el estado, que incluye laboratorios de investigación, clínicas, instalaciones de fabricación, programas de formación y alianzas estratégicas con la industria. Estos esfuerzos han acelerado el proceso desde el descubrimiento científico hasta el impacto real en los pacientes.

Ahora que el CIRM entra en su tercera década, su compromiso sigue siendo el mismo: acelerar el desarrollo de la medicina regenerativa para mejorar la salud y el bienestar de los habitantes de California.

Índice

- 02** Cartas del Liderazgo
- 03** Nuestro Impacto
- 04** Objetivos Estratégicos
- 06** Acelerar el Descubrimiento y la Traducción
- 12** Aprobaciones de Terapia Celular y Génica
- 20** Accesibilidad y Asequibilidad
- 26** Desarrollo de la Fuerza Laboral
- 33** Resumen Presupuestario



El poder de la Medicina Regenerativa

La medicina regenerativa ha entrado en una nueva era. Las terapias con células madre, la edición génica y otras biotecnologías avanzadas, que antes se consideraban un proyecto de futuro, están transformando actualmente la forma en que tratamos las enfermedades graves. Estos enfoques de vanguardia están redefiniendo lo que es posible en enfermedades como el cáncer, la diabetes, la enfermedad de Parkinson, los trastornos genéticos y muchas otras.

El CIRM sigue desempeñando un papel fundamental en el avance de este progreso mediante la financiación de investigaciones de primer nivel y la aceleración de la traducción de los avances científicos en posibles tratamientos para el mundo real.

Pero el trabajo va más allá del desarrollo de nuevas terapias: se trata de revolucionar la ciencia y construir la infraestructura necesaria para ofrecer tratamientos.

A través de sus iniciativas de educación y formación, el CIRM también está formando a la próxima generación de líderes científicos. Estos esfuerzos ayudan a los californianos a acceder a carreras profesionales en medicina regenerativa y apoyan el desarrollo de la fuerza laboral para mantener la solidez de la industria de la medicina regenerativa en el estado.

En colaboración con investigadores, médicos clínicos, la industria y defensores de los pacientes de California y de todo el mundo, el CIRM mantiene su compromiso de cumplir su objetivo de promover la ciencia de la medicina regenerativa para mejorar la vida de las personas.

Queridos californianos:

De cara al futuro, el CIRM mantiene su compromiso de impulsar innovaciones revolucionarias y mejorar la vida de los californianos y de personas de todo el mundo a través de la medicina regenerativa.

El tema del informe anual de este año, Nuestro futuro: Impulsando la Visión Científica de California, refleja el panorama dinámico y en constante evolución de la investigación científica y nuestro papel fundamental en su configuración.

El año pasado, nuestra Junta aprobó nuevos objetivos de impacto como parte de nuestro Marco de Asignación Estratégica, en un esfuerzo por garantizar que las investigaciones e iniciativas financiadas por el CIRM tengan el máximo impacto en la población de California. Este marco impulsará nuestra misión de muchas formas transformadoras al agilizar el proceso desde la investigación hasta el tratamiento, al centrarse en enfermedades de gran impacto y al ampliar el acceso a la medicina regenerativa, lo que, en última instancia, acercará más terapias a los pacientes que las necesitan.

En 2025, no solo celebraremos los avances logrados, sino que, más importante aún, aceleraremos hacia el próximo horizonte de posibilidades. El camino que tenemos por delante es emocionante y prometedor, y nos sentimos honrados de liderar estos esfuerzos con su apoyo.

Atentamente,



Vito Imbasciani, PhD, MD, FACS

Presidente del Comité
Independiente de Supervisión
Ciudadana (ICOOC)



Queridos californianos:

El año pasado supuso una transición fundamental, tanto para mí como para el CIRM. Tras 12 años como presidente de la Junta de Administración, asumí el cargo de Presidente y Director Ejecutivo a tiempo completo, un honor que me permite trabajar en estrecha colaboración con nuestro excepcional equipo para avanzar en nuestro objetivo de ofrecer terapias transformadoras a pacientes con necesidades médicas no cubiertas.

En 2024, llevamos a cabo un análisis riguroso y basado en datos de la carga de morbilidad en California, lo que dio lugar a nuevos objetivos estratégicos de impacto y a una hoja de ruta para desplegar el resto de los fondos de la Proposición 14. Esto incluye el lanzamiento de programas de financiación actualizados en múltiples pilares de investigación, garantizando el apoyo continuo a los científicos de California, especialmente en medio de la actual incertidumbre sobre la financiación federal.

En el CIRM, estamos afrontando los retos actuales mediante el fomento de un ecosistema de investigación en el que prospera la innovación y las ideas audaces avanzan hacia su aplicación clínica. Cada paso adelante nos acerca a tratamientos de medicina regenerativa que cambian vidas y promueve la visión científica que los votantes de California nos confiaron hace más de 20 años.

De cara al futuro, seguimos motivados por el impacto duradero que nuestro trabajo tendrá en todo el estado y más allá.

Atentamente,



Jonathan Thomas, PhD, JD

Presidente y Director
Ejecutivo



Creación de un Ecosistema Científico en California

Durante más de 20 años, el CIRM ha desempeñado un papel fundamental en el desarrollo de un sólido ecosistema de medicina regenerativa en todo el estado. A través de inversiones estratégicas y asociaciones colaborativas, el CIRM ha empoderado a los investigadores, ha acelerado el desarrollo de terapias celulares y génicas, y ha fortalecido la infraestructura de las instituciones de investigación de California. A continuación, se presentan algunas formas en que los programas del CIRM han beneficiado a las personas en California, según datos del 30 de junio de 2025.

\$4.6 mil millones

Total de fondos aprobados para apoyar la investigación, la educación y la infraestructura en materia de terapia celular y génica en California.

85+ enfermedades

La financiación del CIRM apoya proyectos de investigación para abordar una amplia gama de problemas de salud, desde la artritis hasta la enfermedad de Alzheimer, el cáncer, las enfermedades raras, las cardiopatías y los accidentes cerebrovasculares.

56,000+ puestos de trabajo equivalentes a tiempo completo*

Puestos de trabajo equivalentes a tiempo completo adicionales creados en California
(*Impacto económico según la Proposición 71)

4,300+ participantes en ensayos clínicos

Pacientes que se han inscrito en ensayos clínicos respaldados por el CIRM.

4,600+ residentes y becarios de investigación

Número de estudiantes de escuela secundaria y universitarios, candidatos a posdoctorados y becarios clínicos que participan en programas de educación y formación financiados por el CIRM.

116 ensayos clínicos financiados por el CIRM

Al dirigir el apoyo a 116 ensayos clínicos, el CIRM desempeña un papel crucial en el avance de su misión de ofrecer terapias innovadoras con células madre y génicas a los pacientes.



La ruta del futuro: Objetivos estratégicos del CIRM

En 2024, el CIRM lanzó su Marco de Asignación Estratégica, una iniciativa basada en datos para orientar la inversión de los 3860 millones de dólares restantes de la agencia, incluidos 1140 millones de dólares destinados a la investigación neurológica. Nuestro marco describe seis objetivos (véase la página siguiente) basados en cuatro principios rectores: Aceleración del Descubrimiento y la Traducción, Aprobaciones de Terapias Celulares y Génicas, Accesibilidad y Asequibilidad, y Desarrollo de la Fuerza Laboral. Estas prioridades están diseñadas para maximizar el impacto al alinear la financiación con objetivos medibles.

El proceso de creación de este plan se basó en datos internos, investigaciones externas y aportaciones de las partes interesadas para identificar las áreas de financiación con mayor potencial de impacto. Esta iniciativa se

basa en la tradición colaborativa del CIRM, con aportaciones adicionales de comités clave que darán lugar a recomendaciones formales a la Junta en septiembre de 2024. Refleja el compromiso continuo del CIRM de definir las orientaciones estratégicas en estrecha colaboración con la Junta.

“El CIRM ha tenido un impacto significativo en el ecosistema de investigación de California. Nuestras nuevas prioridades perfeccionarán ese proceso, garantizando que cada dólar se asigne estratégicamente a través de objetivos de impacto y análisis basados en datos”, afirmó Rosa Canet-Avilés, PhD, Directora Científica (CSO) del CIRM, quien encabezó la iniciativa. Con este marco, el CIRM está preparado para liderar la próxima era de la medicina regenerativa mediante la financiación más inteligente, la traducción más rápida de la investigación y la garantía de que nuestro impacto llegue más lejos.



Centradas, estratégicas e impactantes

Los siguientes son los objetivos dentro de cada categoría clave del Marco de Asignación Estratégica del CIRM:

Acelerar el descubrimiento y la traducción

OBJETIVO 1: Catalizar la identificación y validación de al menos cuatro nuevos objetivos y biomarcadores, garantizando su integración en la investigación preclínica o clínica de enfermedades en California.

OBJETIVO 2: Acelerar el desarrollo y la utilización de entre cinco y ocho tecnologías que tengan el potencial de mejorar la seguridad, la eficacia y/o la calidad de las terapias celulares y génicas.

Aprobaciones de Terapia Celular y Génica

OBJETIVO 3: Impulsar 4-7 proyectos sobre enfermedades raras hasta la solicitud de licencia de productos biológicos (BLA).

OBJETIVO 4: Impulsar entre 15 y 20 terapias dirigidas a enfermedades que afectan a los californianos hasta la fase final de los ensayos clínicos.

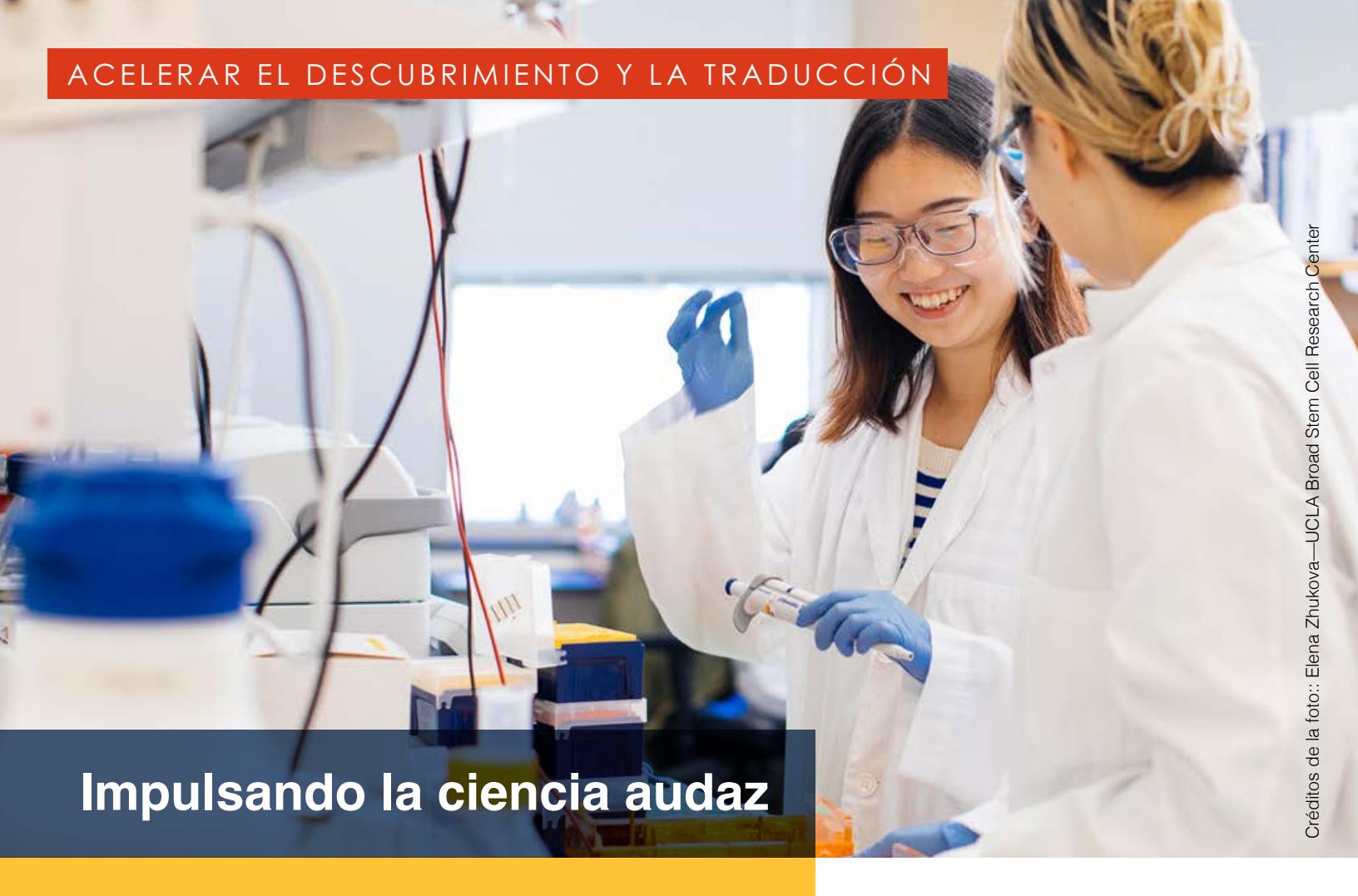
Accesibilidad y asequibilidad

OBJETIVO 5: Asegurarse de que todos los programas preparados para la BLA cuenten con una estrategia de acceso y asequibilidad.

Desarrollo de la fuerza laboral

OBJETIVO 6: Reforzar los programas de desarrollo de la fuerza laboral del CIRM para abordar las deficiencias y satisfacer las demandas cambiantes en medicina regenerativa.

Puede encontrar más información sobre los objetivos estratégicos en cirm.ca.gov/strategic-goals.



Impulsando la ciencia audaz

El CIRM está acelerando el desarrollo de terapias con células madre y génicas mediante la inversión en ciencia innovadora y la creación de la infraestructura necesaria para que los descubrimientos tengan un impacto clínico.

En 2024, ampliamos nuestro apoyo a la investigación en fase inicial mediante nuevos programas Discovery que identifican nuevos objetivos y biomarcadores para posibles terapias, fomentan la colaboración multidisciplinaria e incorporan desde el principio las perspectivas de la industria para garantizar que las innovaciones puedan ser escalables y clínicamente relevantes. Para acelerar aún más el progreso, el CIRM lanzó nuevos programas de financiación el año pasado, entre ellos DISC4 y DISC5, con el fin de apoyar la investigación exhaustiva y fomentar la innovación colaborativa y multidisciplinaria en el campo de la investigación con células madre y genética.

El CIRM también introdujo nuevas iniciativas en materia de datos para mejorar la forma en que los investigadores recopilan, integran y comparten información entre las distintas áreas de enfermedades, lo que fomenta la colaboración y promueve los descubrimientos basados en datos. Además, el CIRM está promoviendo tecnologías que mejoran la seguridad, la eficacia y la calidad de las terapias celulares y génicas a través de futuros programas de incubación que unen a socios académicos e industriales, lo que ayuda a que las herramientas estén listas rápidamente para su uso clínico y comercial.

En conjunto, estos esfuerzos están acelerando los avances en medicina regenerativa para los pacientes que lo necesitan.

Avances en la investigación colaborativa en neurociencia



Los trastornos neuropsiquiátricos y del desarrollo neurológico se encuentran entre las necesidades médicas más urgentes en California, lo que supone una pesada carga para las personas, las familias y las comunidades. En 2024, el CIRM puso en marcha la iniciativa ReMIND (Investigación Mediante Enfoques Multidisciplinarios e Innovadores en Enfermedades Neurológicas) con el fin de avanzar en la comprensión de los trastornos del sistema nervioso central y sentar las bases para futuras investigaciones. A través de este programa, que desde entonces ha servido de modelo para nuestro nuevo programa de financiación Discovery (DISC4), el CIRM destinó más de 84 millones de dólares a financiar siete proyectos colaborativos a gran escala en diez instituciones líderes de California. Estos equipos

están investigando los mecanismos celulares y moleculares que subyacen a afecciones complejas como el autismo, la esquizofrenia y la discapacidad intelectual. En conjunto, los siete equipos forman una red de 44 investigadores que están aplicando herramientas de vanguardia, como organoides cerebrales, edición génica, proteómica, metabolómica y enfoques de aprendizaje automático, para abordar cuestiones fundamentales relacionadas con el desarrollo y las enfermedades del cerebro. Los galardonados participan en un intercambio estructurado de conocimientos a lo largo del periodo de cuatro años que dura el premio, y el CIRM facilita la integración y las colaboraciones entre los equipos. Este modelo coordinado refuerza las oportunidades para el descubrimiento compartido y acelera el camino hacia la aplicación clínica.



Alex Pollen, PhD, Profesor Asociado de Neurología en la Universidad de California en San Francisco, lidera un proyecto de 12.2 millones de dólares junto con investigadores de la Universidad de California en Berkeley y la Universidad de California en Santa Cruz para estudiar las bases genéticas del trastorno del espectro autista. Mediante el uso de organoides cerebrales derivados de pacientes (cultivos celulares tridimensionales derivados de células madre), el equipo pretende identificar biomarcadores y modificadores genéticos que influyen en la gravedad de la enfermedad.

Avances en la investigación en fase inicial

En CIRM, reconocemos que el camino desde el descubrimiento científico hasta la aplicación clínica requiere una base sólida. Nuestros programas de financiación para el Descubrimiento y la Traducción (ahora conocidos como Desarrollo Preclínico) están diseñados para salvar esta brecha mediante el apoyo a las investigaciones en fase inicial y al desarrollo preclínico de terapias genéticas y basadas en células madre. A través de estos programas, empoderaremos a los investigadores para que exploren tecnologías novedosas y las impulsen hacia su uso clínico.



A continuación, se muestra un resumen de los premios Discovery y Translational otorgados por el CIRM durante el último año fiscal.

Dr. Xin Jin, de Scripps Research y del Instituto Médico Howard Hughes (HHMI), está estudiando cómo los genes de riesgo de autismo afectan al desarrollo cerebral mediante la aplicación de herramientas de cribado genético escalables y mediciones con resolución espacial a modelos tridimensionales derivados de células madre. Estos enfoques permiten a los investigadores estudiar cómo estos genes afectan a las células individuales durante la formación y maduración del cerebro. Al descubrir cómo estos genes influyen en el desarrollo del cerebro, esta investigación podría conducir a nuevas formas de comprender, prevenir o tratar el autismo en el futuro.



Robert Negrin, MD, de la Universidad de Stanford, está desarrollando una forma de controlar la respuesta inmunitaria excesiva y desregulada tras un trasplante de células madre u órganos. El enfoque consiste en modificar un tipo de célula inmunitaria denominada célula T reguladora para que tenga un interruptor molecular que permita la activación y expansión de estas células en el organismo.



Jennifer Johnston, PhD, de NysnoBio GT Neurology, está desarrollando una terapia para tratar la enfermedad de Parkinson causada por mutaciones en un gen llamado Parkin. Las personas con mutaciones del gen Parkin suelen desarrollar la enfermedad de Parkinson antes de los 45 años. La terapia restaurará el gen Parkin, regenerará las neuronas dopaminérgicas y mitigará la progresión de la enfermedad. Este enfoque también puede probarse en la enfermedad de Parkinson esporádica una vez que se haya demostrado el beneficio clínico en la población genética.



Sewoon Han, PhD, de CellFE, Inc., está trabajando en una forma más rápida y eficaz de crear terapias celulares regenerativas. Su equipo está desarrollando un dispositivo y un proceso que pueden acortar significativamente el proceso de edición génica en comparación con los métodos actuales. Este enfoque más rápido ayuda a mantener las células en su estado más potente, similar al de las células madre, lo que puede hacer que los tratamientos sean más eficaces. Si tiene éxito, esta tecnología podría dar lugar a terapias mejores y más fiables para enfermedades como el cáncer y los trastornos sanguíneos, y facilitar la producción de estos tratamientos a gran escala.





Imagen microscópica de un organoide cerebral aportada por Aparna Bhaduri, PhD, galardonada con el premio del CIRM.

“Actualmente, se han publicado muchos datos, cientos de conjuntos de datos solo sobre la corteza cerebral, pero se necesitan horas para convertir los conjuntos de datos y analizarlos. Nuestros sitios web reducirán esto a segundos”.

**– Maximilian Haeussler,
PhD**



Impulsando la ciencia con datos compartidos

Compartir datos de investigación acelera los descubrimientos científicos, mejora la reproducibilidad y fomenta la colaboración, ya que permite a otros investigadores validar los hallazgos y aprovechar el trabajo ya realizado.

El CIRM apoya este enfoque científico abierto al exigir que los datos de las investigaciones financiadas por el CIRM se compartan de forma accesible, transparente y respetuosa con la privacidad de los pacientes.

Para que los datos sean más fáciles de encontrar y utilizar, el CIRM ha desarrollado el Data Explorer (datahub.cirm.ca.gov), un panel de control centralizado que recopila información sobre más de 900 experimentos financiados a lo largo de la historia del CIRM.

Esta plataforma ayuda a los investigadores a localizar y reutilizar valiosos conjuntos de datos, maximizando el impacto de la inversión del CIRM en la investigación en medicina regenerativa.

El CIRM también proporciona financiación para herramientas innovadoras que promueven el intercambio de datos. Por ejemplo, Maximilian Haeussler, PhD, de la Universidad de California en Santa Cruz, está creando un microscopio virtual para explorar la expresión génica en organoides cerebrales, que son cultivos celulares tridimensionales derivados de células madre que modelan el desarrollo y los trastornos del cerebro. Estos complejos conjuntos de datos son difíciles de analizar, pero herramientas como Cell Browser (cells.ucsc.edu) permiten a los científicos ver qué genes están activos o inactivos e incluso cargar y explorar sus propios datos.

Al invertir en infraestructura y tecnología para datos abiertos, el CIRM ayuda a los investigadores de todo el mundo a avanzar en la medicina regenerativa de manera más eficiente y colaborativa.

Laboratorios de recursos compartidos: Promoviendo la ciencia en todo el Estado

CIRM's Shared Resources Laboratories for Stem Los Laboratorios de Recursos Compartidos para Modelización Basada en Células Madre del CIRM desempeñan un papel fundamental en el fortalecimiento del ecosistema de medicina regenerativa de California.

En todo el estado, estos laboratorios especializados proporcionan a los investigadores, independientemente de su afiliación institucional, acceso a tecnologías de vanguardia, líneas de células madre, formación y apoyo de expertos. Al reducir las barreras para la compleja investigación basada en células madre, estos laboratorios fomentan la innovación, la colaboración y el rigor científico.

El CIRM ha concedido más de 48 millones de dólares para financiar una red de 11 laboratorios de este tipo, un componente importante del Programa de Infraestructuras del CIRM diseñado para abordar los retos que dificultan el progreso en el campo de la medicina regenerativa.

Estos laboratorios, que ayudan a investigadores y educadores de toda California a utilizar células madre para modelar la biología y las enfermedades humanas, contribuyen a sentar las bases para el descubrimiento y el desarrollo de nuevos tratamientos, lo que demuestra el compromiso del CIRM con la innovación y el impacto a largo plazo para los californianos.



Más de 48 millones de dólares en fondos del CIRM financian una red de 11 laboratorios de recursos compartidos en diversas instituciones, entre las que se incluyen:

Norte de California

Cal Poly Humboldt

Gladstone Institutes

California Central

University of California, Merced

Sur de California

Cedars-Sinai

City of Hope

The Lundquist Institute

The Salk Institute

University of California, Irvine

University of California, Los Angeles

University of California, Santa Barbara

University of Southern California

El Laboratorio de Recursos Compartidos UCLA-CIRM, dirigido por Kathrin Plath, PhD, ofrece acceso a un método flexible y automatizado para el modelado de células madre que aumenta la velocidad, la consistencia y la accesibilidad. Ofrece a los usuarios acceso a líneas de células madre humanas, herramientas de modificación génica y apoyo en la diferenciación de células madre en diversos tipos celulares, lo que acelera la investigación y el desarrollo de terapias para los científicos.



Llevamos las terapias celulares y génicas a los pacientes

Las terapias celulares y génicas tienen el potencial de transformar la forma en que tratamos una amplia gama de enfermedades, desde afecciones genéticas raras hasta enfermedades crónicas comunes. Para que este potencial se haga realidad, estas terapias deben ir más allá de la investigación inicial en los laboratorios y pasar a ensayos clínicos cuidadosamente diseñados en los que se pruebe su seguridad y eficacia en pacientes humanos.

Obtener la aprobación de la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA) para una terapia es un hito fundamental que valida la seguridad y la eficacia de una terapia, lo que abre la puerta a un acceso más amplio y a su uso en el mundo real.

Al financiar la investigación inicial, apoyar proyectos preclínicos y ensayos clínicos rigurosos, y fomentar la colaboración entre investigadores académicos y la industria, el CIRM ayuda a impulsar las terapias en todas las etapas de su desarrollo.

Los programas financiados por el CIRM siguen avanzando hacia hitos clave de la FDA, con varias terapias que entran en ensayos por primera vez en humanos, ensayos en fase avanzada o que atraen importantes inversiones biofarmacéuticas. En el último año fiscal, se presentaron nueve proyectos para su aprobación por parte de la FDA con el fin de comenzar los ensayos en humanos: un proceso denominado solicitud de nuevo fármaco en investigación (IND). Seis de estos proyectos apoyados por el CIRM recibieron la autorización para seguir adelante.

Estos éxitos reflejan las inversiones estratégicas y el compromiso a largo plazo del CIRM con la creación de una cartera de terapias destinadas a tener un impacto duradero para los pacientes.

Con el fin de ayudar a cumplir los objetivos de aprobación de terapias, el CIRM ha puesto en marcha nuevas y actualizadas oportunidades de financiación, incluidos los programas de desarrollo preclínico (PDEV) y ensayos clínicos (CLIN2). Los programas aprobarán nuevas subvenciones a principios de 2026.

Un ensayo clínico sobre epilepsia financiado por el CIRM ofrece esperanzas para un nuevo tratamiento

En 2007, a Justin Graves (en la foto), un apasionado buceador, se le diagnosticó epilepsia, una enfermedad que no solo le obligó a dejar de bucear, sino que también le impidió conducir. A pesar de probar varios medicamentos, sus ataques persistieron, lo que afectó su calidad de vida.

En 2023, Justin se inscribió en un ensayo clínico dirigido por Neurona Therapeutics, una empresa biotecnológica del sur de San Francisco que había recibido 18 millones de dólares de financiación por parte del CIRM para desarrollar una terapia basada en células madre para la epilepsia unilateral, aquella que se origina en un lado del cerebro.

El ensayo probó el NRTX-1001, un tratamiento potencial en el que se inyectan en el cerebro neuronas inhibidoras derivadas de células madre humanas para ayudar a reducir las convulsiones. Justin, que había estado luchando contra las convulsiones durante años, comenzó a notar mejoras al mes de recibir la terapia. Aunque todavía sufre convulsiones leves ocasionales llamadas auras, ya no padece convulsiones más graves o convulsiones de tipo gran mal.

Al igual que Justin, otros pacientes que fueron tratados en este ensayo clínico experimentaron mejoras sustanciales y duraderas en la frecuencia y gravedad



de las convulsiones que padecían, y la terapia ha sido bien tolerada. El éxito hasta la fecha de este ensayo de fase 1/2 en curso ofrece esperanza a los pacientes y sus familias para el avance de una terapia celular regenerativa para la epilepsia resistente a los medicamentos, lo que representa una alternativa potencial a los enfoques quirúrgicos tradicionales de lobectomía que pueden causar efectos secundarios graves e irreversibles.

En marzo de 2025, el CIRM aprobó una nueva subvención de 14 millones de dólares para ayudar a financiar el ensayo clínico de fase 1/2 de Neurona con NRTX-1001 en la epilepsia bilateral resistente a los fármacos, que afecta a ambos lados del cerebro. Neurona también está planificando un ensayo de fase III para evaluar más a fondo la eficacia de la terapia, con la esperanza de obtener la aprobación de la FDA. El año pasado, Neurona recibió la designación de Terapia Avanzada de Medicina Regenerativa (RMAT) de la FDA para el NRTX-1001, lo que ahora permite un diálogo adicional con la FDA para explorar posibles formas de acelerar el desarrollo clínico.

Justin se enorgullece de formar parte de este trabajo pionero. “Es un gran paso adelante”, afirma, “no solo para mí, sino para todos”

Uniendo a expertos para abordar los retos de la fabricación

El año pasado, CIRM organizó su primer Simposio sobre Redes de Fabricación en el sur de San Francisco, que reunió a más de 100 líderes del sector de la terapia celular y génica para abordar retos comunes en materia de fabricación. Patrocinado por Forge Biologics y Avid Bioservices, el evento contó con la participación de expertos académicos y del sector que destacaron la importancia de la colaboración, la estandarización y la innovación centrada en el paciente.

Ponentes de diversas instituciones compartieron casos prácticos y opiniones sobre cómo superar obstáculos, como las limitaciones de infraestructura, los largos procesos de contratación y las preocupaciones relacionadas con la propiedad intelectual. Los participantes destacaron la necesidad de ir más allá de la competencia y aunar esfuerzos para ampliar el acceso a terapias prometedoras, así como la importancia de las alianzas intersectoriales para mejorar la escalabilidad y la accesibilidad de la terapia celular y génica.

En apoyo a estos esfuerzos de fabricación, el CIRM ha invertido 18 millones de dólares para poner en marcha y respaldar una Red de Fabricación, que reúne a nueve centros académicos de Buenas Prácticas de Fabricación con el fin de abordar los cuellos de botella en la producción y elevar la capacidad de fabricación en todo el estado.





Este año, el Cedars-Sinai Biomanufacturing Center, que forma parte de la Red de Fabricación CIRM, celebró su segunda cohorte del Programa de Prácticas de Biofabricación con un evento de presentación.

Durante 14 semanas, los becarios seleccionados entre un competitivo grupo de candidatos adquirieron experiencia práctica en la identificación de tipos de células madre, la transición de esas células a otros tipos de células maduras y la edición génica.

Con el apoyo financiero del CIRM, el programa ofreció a científicos que se encuentran en los inicios de su carrera la oportunidad de trabajar con expertos en investigación de vanguardia y recibir su orientación. La exposición destacó sus contribuciones y subrayó el papel del programa en la formación de la próxima generación de líderes en biofabricación.

Impulsando la investigación para la recuperación de la visión

En California, más de 700,000 personas padecen algún tipo de pérdida o discapacidad visual. A nivel mundial, la cifra alcanza los millones.

Para ayudar a combatir este problema, el CIRM está promoviendo terapias celulares y génicas para la pérdida de visión, apoyando más de 60 proyectos y otorgando más de 200 millones de dólares en fondos hasta la fecha. Estos esfuerzos se centran en las principales causas de ceguera, incluyendo la degeneración macular asociada con la edad (AMD) y la retinitis pigmentosa.

Recientemente, el CIRM concedió casi 8 millones de dólares a Paul Bresge, de Ray Therapeutics, para poner en marcha un ensayo clínico de fase I sobre una novedosa terapia génica para la retinitis pigmentosa, basándose en trabajos anteriores financiados por una subvención traslacional del CIRM. El CIRM también concedió 12 millones de dólares a Jane Lebkowski, PhD, de Regenerative Patch Technologies, para un ensayo de fase 2b sobre un implante retiniano basado en células madre para una forma grave de AMD.

Mientras tanto, Jeffery Stern, PhD, MD, de Luxa Biotechnology, que dirige un ensayo clínico de fase 1/2a financiado en parte por una subvención de 4 millones de dólares del CIRM, ha logrado un hito regulatorio clave con la designación de la Terapia Avanzada de Medicina Regenerativa (RMAT) de la FDA para su terapia contra la AMD seca elaborada a partir de células madre epiteliales pigmentarias de la retina adulta. Esta designación puede ayudar a la empresa a acelerar el desarrollo del tratamiento al trabajar más estrechamente con la FDA durante todo el proceso.

Otro logro importante fue que la investigación financiada por el CIRM en la UCLA, dirigida por Anthony Aldave, MD, recibió las designaciones de Medicamento Huérfano y Enfermedad Pediátrica Rara" por una terapia génica dirigida a la distrofia endotelial hereditaria congénita, un trastorno ocular genético que afecta la córnea y provoca problemas de visión.

Estos hitos y premios destacan la calidad del trabajo que financia el CIRM en su esfuerzo por ofrecer tratamientos que cambian la vida de las personas afectadas por la pérdida de visión.

Ver la luz: El viaje de una paciente y las células madre

Kristin MacDonald fue la primera paciente inscrita en un ensayo clínico financiado por el CIRM y dirigido por la empresa biotecnológica jCyte, con sede en Newport Beach, para tratar la retinitis pigmentosa, una enfermedad ocular degenerativa que le diagnosticaron a finales de sus veinte años, tras años de pérdida progresiva de la visión. Kristin, que en su momento aspiró a ser actriz y presentadora de programas de entrevistas, describió su diagnóstico como una realidad gradual y difícil que cambió su vida por completo.

Hace ocho años, recibió su primera inyección de células madre como parte del ensayo. Es un momento que recuerda vívidamente, desde la expectativa que se respiraba en la sala hasta la cuidadosa coordinación entre el equipo de investigación. Dos meses después, comenzó a notar una luz brillante en su visión. Ese cambio ha perdurado desde entonces y le sigue ayudando a realizar actividades cotidianas como nadar e ir al gimnasio.

Desde que participó en el ensayo, Kristin ha seguido siendo una dedicada defensora de la medicina regenerativa y de otras personas afectadas por la pérdida de visión. Como fundadora de Second Vision y conferenciante, sigue apoyando la misión del CIRM compartiendo su historia y ayudando a concienciar sobre el potencial de las terapias con células madre.



Kristin MacDonald comparte su experiencia como primera participante en un ensayo clínico financiado por el CIRM para la retinitis pigmentosa, un viaje que le ha proporcionado mejoras duraderas en su visión y calidad de vida.



Avanzando en terapias a través de colaboraciones

El Programa de Socios Industriales (IRP) del CIRM promueve los objetivos estratégicos del CIRM fomentando alianzas estratégicas entre empresas biotecnológicas e investigadores financiados por el CIRM para acelerar el desarrollo y la comercialización de terapias celulares y génicas.

Al abordar los cuellos de botella en el proceso de investigación, especialmente en lo que respecta a la fabricación, la estrategia regulatoria y el acceso a la tecnología, el programa tiene como objetivo llevar los proyectos desde la fase de investigación hasta el desarrollo clínico. Las empresas participantes se comprometen a aportar servicios fundamentales, como asesoramiento sobre proyectos, acceso a herramientas de edición génica, fabricación escalable y

orientación regulatoria. En junio de 2025, el programa IRP del CIRM contaba con 24 miembros que ofrecían servicios remunerados a los investigadores financiados por el CIRM.

A través de recursos compartidos, tutorías y participación en simposios y paneles asesores del CIRM, los miembros del programa aportaron sus conocimientos especializados a una red de más de 200 proyectos de terapia celular y génica financiados por el CIRM.

En consonancia con el objetivo del CIRM de acelerar la aprobación de terapias, el programa demuestra cómo la colaboración público-privada puede transformar los descubrimientos en tratamientos eficaces, reforzando el liderazgo de California en medicina regenerativa y aportando avances a los pacientes que lo necesitan.

Una nueva vida para un paciente con cistinosis

A los 18 meses de edad, a Kurt Gillenberg (en la foto) se le diagnosticó cistinosis, una rara enfermedad genética que provoca una acumulación nociva de cistina que daña los órganos y a menudo conduce a una muerte prematura. A los 32 años, se había sometido a 18 cirugías y múltiples trasplantes de riñón. “Cuando me diagnosticaron por primera vez, los médicos les dijeron a mis padres que, aunque podían tratar la enfermedad, al final me mataría”, dijo. En 2022, Gillenberg participó en un ensayo clínico financiado por el CIRM y dirigido por Stephanie Cherqui, PhD, en el que se probaba una terapia génica única que modifica las células madre sanguíneas para producir la proteína cistinosina que falta, con el objetivo de reducir la acumulación de cistina y prevenir



daños mayores. Desde el ensayo, Kurt afirma que ha experimentado mejoras significativas. “Nunca me he sentido tan fuerte, y mi fuerza y resistencia en el gimnasio han aumentado considerablemente”, afirmó. Este es uno de los muchos ensayos clínicos sobre enfermedades raras respaldados por el CIRM, que cubre un vacío que suelen dejar las grandes empresas farmacéuticas, las cuales pasan por alto estas afecciones debido a su limitado potencial de rentabilidad. Kurt dijo que valora esta posible cura definitiva y el apoyo que hay detrás de ella. “Agradezco enormemente a las organizaciones y personas que financian la investigación de enfermedades como la cistinosis. Sin ustedes, ensayos como estos no serían posibles”.



Una reunión celebrada en septiembre en el Simposio inaugural sobre Iniciativas de Terapia Génica de la Universidad de California en San Diego congregó a destacados investigadores, socios industriales y defensores de los pacientes para poner de relieve los avances en las terapias génicas para enfermedades raras y comunes. El evento contó con el apoyo de una subvención del CIRM y una donación de Geoffrey y Nancy Stack, cuya hija también participó en el ensayo clínico financiado por el CIRM para la cistinosis. Stephanie Cherqui, PhD, y Alysson Muotri, PhD, de la Universidad de California en San Diego, lideran la iniciativa.

Jana K. Dickter, MD, Paul Edmonds y Monzr M. Al Malki, MD. En julio de 2022, City of Hope anunció que Paul Edmonds estaba en remisión tanto del HIV como de la leucemia tras un trasplante de células madre. La red Alpha Clinics Network del CIRM desempeñó un rol detrás de escena, prestando apoyo en la aprobación del Comité de Ética, la coordinación de los donantes y el análisis de sangre.



Ampliación del acceso y la asequibilidad en medicina regenerativa

La misión del CIRM va más allá del desarrollo de terapias génicas y con células madre de vanguardia: también incluye garantizar que estos tratamientos sean accesibles y asequibles para los californianos y otras personas que los necesiten. A medida que más terapias avanzan hacia su aprobación, es esencial reducir las barreras de acceso y asequibilidad para aprovechar todo su potencial. Durante el último año, el CIRM puso en marcha varias iniciativas centradas en este objetivo, entre las que se incluyen el Programa

de Apoyo al Paciente, la ampliación de la divulgación legislativa y nuevos conjuntos de herramientas y recursos para respaldar los programas recién lanzados. Al incluir la planificación del acceso y la asequibilidad en nuestros programas de investigación clínica, el CIRM pretende aliviar la carga financiera y garantizar que ningún paciente se quede atrás por motivos económicos o por la disponibilidad limitada. Estos esfuerzos son fundamentales para que la medicina regenerativa funcione en toda California.



Eliminando las barreras para participar en ensayos clínicos

En 2024, el CIRM puso en marcha el Programa de Apoyo al Paciente (PSP), cuyo objetivo es reducir las barreras logísticas y económicas que a menudo impiden a los pacientes participar en ensayos clínicos. Reconociendo que los ensayos con células madre y terapia génica deben ser accesibles para marcar una verdadera diferencia, el CIRM aprobó una subvención de 2.5 millones de dólares a EVERISANA, un proveedor líder de servicios comerciales globales para la industria de las ciencias de la vida, con el fin de establecer e implementar el PSP. Ofrece servicios de asistencia personalizados para ayudar a los pacientes y cuidadores a superar los retos que plantean la inscripción y la participación en los ensayos, lo que garantiza un acceso más amplio a los ensayos clínicos.

financiados por el CIRM. Los pacientes elegibles para participar en ensayos clínicos financiados por el CIRM pueden recibir ayuda para gastos de viaje, alojamiento, comidas y otras necesidades básicas. El objetivo es claro: aliviar la carga de los pacientes para que puedan centrarse en su salud y acceder a tratamientos que pueden cambiarles la vida, independientemente de sus ingresos, su origen o su ubicación.

El PSP refleja el compromiso más amplio del CIRM con la equidad en la investigación y la atención médica. Al abordar los retos financieros de los pacientes, el programa tiene como objetivo garantizar que todos los californianos que puedan beneficiarse puedan participar en ensayos clínicos.



Alpha Clinics Network: Un modelo de acceso

La red CIRM Alpha Clinics Network cuenta con nueve centros médicos de primer nivel repartidos por toda California, cuyo objetivo común es optimizar y acelerar la administración de terapias celulares y génicas a los pacientes que las necesitan.

El Children's Hospital Los Ángeles (CHLA), miembro de la red en colaboración con la Universidad del Sur de California, ofrece ahora diez terapias celulares y génicas aprobadas por la FDA. El CHLA es uno de los proveedores de servicios pediátricos más completos de la costa oeste y ofrece tratamientos para enfermedades graves como la leucemia, la atrofia muscular espinal, la hemofilia, la anemia falciforme y la pérdida de visión hereditaria.

Este logro en el CHLA subraya el impacto que tienen las Alpha Clinics de CIRM en la ampliación del acceso y la prestación de terapias a pacientes de todo el estado.

Con el apoyo financiero del CIRM, los médicos del Children's Hospital Los Ángeles están avanzando en la atención pediátrica mediante terapia celular y génica.

Impacto de la red

40+ enfermedades

250+ ensayos clínicos

2,000+ participantes en ensayos clínicos

Nueve centros médicos líderes

Cedars-Sinai Medical Center

City of Hope

Stanford University

University of California, Davis

University of California, Irvine

University of California, Los Angeles

University of California, San Diego

University of California, San Francisco

University of Southern California/ Children's Hospital Los Angeles

Aspectos destacados del Simposio Alpha Clinics 2024 del CIRM

El CIRM patrocinó el séptimo Simposio Anual de la Red Alpha Clinics el año pasado en West Hollywood, al que asistieron más de 150 personas, entre ellas investigadores, médicos, funcionarios de la FDA y defensores de los pacientes. Organizado por Cedars-Sinai, el evento destacó los avances en terapia celular y génica, al tiempo que hizo hincapié en las formas en que el CIRM está haciendo que estos tratamientos sean más accesibles y asequibles para los pacientes.

El evento contó con debates en profundidad sobre cómo mejorar el acceso a los ensayos clínicos, el diseño de los ensayos clínicos y los nuevos enfoques para fabricar terapias en el punto de atención.

La oradora principal Lauren Miller Rogen (en la foto), cofundadora de Hilarity for Charity y antigua miembro de la junta directiva del CIRM, habló sobre la importancia del acceso a terapias y servicios de apoyo para los pacientes y sus familias. “Como alguien que ha pasado por la desgarradora experiencia de perder a un ser querido a causa de una enfermedad incurable, puedo decirles que la esperanza es uno de los recursos más poderosos que tenemos. El trabajo que están realizando el CIRM y Alpha Clinics da esperanza a las personas, la esperanza de que algún día familias como la mía no tengan que enfrentarse a la devastadora realidad de enfermedades como el Alzheimer”, afirmó durante su discurso.





Involucrar a los responsables políticos para que defiendan la investigación

En 2024, el CIRM intensificó sus esfuerzos de divulgación para informar e involucrar a los responsables políticos, tanto en Sacramento como en Washington D. C., con el fin de garantizar que los responsables de la toma de decisiones comprendieran el potencial de la medicina regenerativa y el papel fundamental que desempeña el CIRM en su avance. A través de una serie de reuniones y comunicaciones específicas, los dirigentes del CIRM, encabezados por María Bonneville, presidenta del Grupo de Trabajo sobre Acceso y Asequibilidad y vicepresidenta de la Junta Directiva del CIRM, se reunieron con legisladores, funcionarios de agencias y miembros del personal para destacar el impacto de los programas de investigación y formación financiados por el CIRM en toda California.

Estos esfuerzos demostraron cómo la inversión pública en medicina regenerativa está acelerando el progreso científico, impulsando el crecimiento económico y ofreciendo esperanza a los pacientes.

A principios de 2025, la directora científica del CIRM, Rosa Canet-Avilés, PhD, asistió al Foro sobre Terapia Celular y Génica de la Casa Blanca, que reunió a líderes del ámbito científico, gubernamental, industrial y de defensa de los pacientes con el fin de impulsar medidas para acelerar el acceso equitativo a las terapias celulares y genéticas. De esta reunión surgieron soluciones concretas, entre ellas colaboraciones público-privadas en el ámbito de la fabricación y vías simplificadas para la aprobación de tratamientos para enfermedades ultra raras.



Vicepresidenta de la Junta del CIRM María Bonneville en Washington D.C.



Ir al encuentro de las comunidades

En 2025, el CIRM amplió su alcance comunitario para informar mejor a los californianos sobre el potencial de la medicina regenerativa y cómo se puede utilizar para tratar enfermedades graves. A través de invitaciones para dar charlas y colaboraciones con organizaciones locales, el CIRM proporcionó información accesible y multilingüe sobre la investigación en medicina regenerativa y los ensayos clínicos. Estos esfuerzos tienen como objetivo generar confianza, facilitar la participación en la investigación y destacar el impacto del CIRM en todo el estado. Al trabajar directamente con grupos de pacientes y líderes comunitarios, el CIRM se aseguró de que su labor de divulgación fuera relevante, inclusiva y sensible a las necesidades de la comunidad.

Crédito de la foto: ALS Network

La directora de Relaciones Comunitarias del CIRM, Aditi Desai, MPH, CPH, se dirige a los asistentes en el Parkinson's Moving Day en San Francisco.



El equipo del CIRM en la marcha "Walk to End Alzheimer's" (Caminata para acabar con el Alzheimer) en Fresno.



El equipo del CIRM en el evento East Bay Walk & Roll to Cure ALS (Caminata y rodada para curar el ALS) en Richmond.



Empoderando a la futura fuerza laboral de California

California cuenta con la mayor plantilla de biotecnología del país, y las empresas biotecnológicas están avanzando rápidamente en la investigación, el desarrollo y la fabricación de terapias celulares y génicas. Para hacer realidad todas las promesas de estos avances, California debe seguir formando una plantilla científica sólida y altamente cualificada que satisfaga las crecientes demandas del sector.

Cuatro programas de educación y formación financiados por el CIRM —SPARK, Bridges, COMPASS y Scholars— apoyan a la próxima generación de científicos especializados en medicina regenerativa, desde estudiantes de escuela secundaria hasta becarios posdoctorales. Cada programa ofrece

experiencia práctica que desarrolla las habilidades técnicas fundamentales para el avance científico y médico futuro.

Para impulsar la estrategia de la red educativa del CIRM, la agencia lanzó el CIRM Hub (que se encuentra en cirmhub.cirm.ca.gov) con el fin de facilitar la creación y difusión de conocimientos, herramientas y recursos científicos, así como oportunidades de formación para seguir desarrollando la mano de obra dedicada a la medicina regenerativa en California. Esta iniciativa forma parte de múltiples vías de acceso que aprovechan y se basan en las inversiones de CIRM en investigación, educación e infraestructura.

Los trainees del programa Stem Cell Internships (Prácticas en Células Madre) en Laboratory-based Learning (aprendizaje basado en el laboratorio) (SCILL) de la Universidad Estatal de San José, financiado por el CIRM, hablan con el público en un evento celebrado en el campus.



Josh Nelson pasó dos décadas trabajando en el mundo del entretenimiento antes de decidir seguir una carrera en ciencia y medicina. A través del programa CIRM Bridges de Cal Poly Humboldt, adquirió experiencia práctica en investigación en los Institutos Gladstone, donde amplió sus conocimientos biomédicos en un entorno de primer nivel.

Josh atribuye al programa el mérito de haberle brindado la oportunidad de contribuir a la investigación de vanguardia en medicina regenerativa mientras se prepara para su futuro en la medicina. Ahora continúa ese viaje como estudiante de medicina en la Universidad PNW de Washington, lo que demuestra el impacto del Programa Bridges a la hora de abrir puertas a los aspirantes a científicos de toda California.

Programas de educación y capacitación del CIRM

Hasta la fecha, los programas educativos y de capacitación del CIRM han prestado apoyo a más de 4600 becarios, investigadores y trainees. Los programas incluyen:

SPARK

Programa de Verano para Acelerar el Conocimiento sobre Medicina Regenerativa

11

PROGRAMAS EN
TODO EL ESTADO

El programa de prácticas remuneradas de verano del CIRM ofrece a diversos estudiantes de escuela secundaria oportunidades únicas en el campo de la investigación con células madre, en particular a aquellos que, de otro modo, no tendrían la posibilidad de participar en prácticas debido a limitaciones económicas.

COMPASS

Creación de oportunidades a través de la tutoría y la colaboración en el ámbito de la ciencia de las células madre

16

PROGRAMAS EN
TODO EL ESTADO

COMPASS satisface una necesidad apremiante de orientar y formar a los estudiantes universitarios para que sigan una carrera en medicina regenerativa. Ayuda a crear una mano de obra cualificada en California para impulsar la investigación y la innovación en el ámbito de la asistencia médica.

BRIDGES

Puentes hacia la investigación y la terapia con células madre

15

PROGRAMAS EN
TODO EL ESTADO

Bridges prepara a estudiantes de grado y máster de universidades estatales y colegios comunitarios para oportunidades de investigación y profesionales en medicina regenerativa.

CIRM SCHOLARS

Capacitación en investigación sobre medicina regenerativa traslacional y descubrimiento

18

PROGRAMAS EN
TODO EL ESTADO

El programa CIRM Scholars apoya y forma a científicos de California en diversas etapas educativas, incluyendo predoctorales, posdoctorales y becarios clínicos. Scholars contribuye a la expansión de la investigación en medicina regenerativa al convertirse en investigadores cualificados y líderes innovadores.



Un nuevo camino en la ciencia

Esmeralda “Esme” Ruiz-García creció en una familia mexicano-estadounidense en la que trabajar en el sector de la salud era una tradición compartida. Aunque siempre le gustó la ciencia, no se veía siguiendo la carrera tradicional de medicina. Como primera persona de su familia en asistir a la universidad, inicialmente estudió enfermería, pero pronto se dio cuenta de que no era lo adecuado para ella.

Su trayectoria la llevó a la Universidad Estatal de California, en San Bernardino, donde Nicole Bournias-Vardiabasis, PhD, la introdujo en la investigación biomédica. Esa chispa llevó a Esme a unirse al programa Bridges to Stem Cell Research, financiado por el CIRM, donde trabajó en la investigación del Alzheimer y luego realizó prácticas en el laboratorio de bioingeniería de Huinan Liu, PhD, en la Universidad de California en Riverside. A pesar de la empinada curva de aprendizaje, Esme encontró su vocación.

“Me enamoré de la ingeniería, no entendía muy bien en qué me estaba metiendo, pero estoy eternamente agradecida por haberme dado la oportunidad de salir de mi zona de confort”.

– **Esmeralda Ruiz-García,**
UC Riverside Estudiante

Hoy en día, Esme es estudiante de segundo año de doctorado en el laboratorio de ingeniería química y medioambiental de Ke Du, PhD, en la Universidad de California en Riverside. Ella atribuye al programa CIRM Bridges el mérito de haberle ayudado a descubrir un mundo de posibilidades en el ámbito de la ciencia y la ingeniería. “No es una calle de un solo sentido”, dijo Esme. “Hay miles de caminos que puedo tomar y que me llevarán a ayudar a los demás”.



Formando a los líderes científicos del mañana

El año pasado, el CIRM organizó dos eventos que reunieron a científicos emergentes de los programas de educación y capacitación de CIRM para establecer contactos, aprender e inspirarse mutuamente. En primer lugar, la primera Conferencia de Networking para Trainees celebrada en la Universidad del Sur de California acogió a más de 400 trainees de los programas Bridges, COMPASS y Scholars del CIRM. Con 85 ponentes, 44 panelistas, 76 presentaciones de trainees y más de 250 pósteres de trainees, el evento ofreció un entorno para que trainees de diferentes niveles educativos participaran en intercambios científicos, establecieran contactos y aprovecharan oportunidades de desarrollo profesional. Además de escuchar a investigadores destacados hablar sobre sus avances científicos más recientes, los participantes también tomaron parte en mesas redondas interactivas sobre carreras profesionales y talleres en grupos reducidos que trataron temas como la publicación científica, las salidas profesionales en biotecnología y la solicitud de admisión en escuelas de posgrado. Los trainees también escucharon a

defensores de los pacientes que compartieron historias personales, lo que puso de relieve el impacto real de sus investigaciones en medicina regenerativa. A principios de verano, la conferencia anual SPARK del CIRM reunió a más de 100 becarios de escuelas secundarias en la Universidad de California en Riverside. Estos becarios de SPARK presentaron sus proyectos de verano y conectaron con sus compañeros y mentores en un ambiente muy interactivo y de apoyo. Un becario del grupo SPARK de la Universidad de California en Davis afirmó: "SPARK ha sido una experiencia verdaderamente inolvidable y nos ha permitido disfrutar plenamente del hermoso mundo en todo su esplendor desconocido mientras nos adentrábamos en el ámbito de la investigación científica. Es intrincado, es desconcertante, es difícil, es maravilloso, es impresionante, es poderoso: una mezcla perfecta de todo lo que siempre hemos querido buscar".

En conjunto, estas conferencias ponen de relieve cómo el CIRM está formando a la próxima generación de líderes científicos de California y les está capacitando para impulsar la visión del CIRM.

Becarios de escuela secundaria y directores del programa SPARK 2024.



El presidente y director ejecutivo del CIRM, Jonathan Thomas, PhD, JD, se dirige a los becarios de la Universidad de California en Riverside en la conferencia SPARK 2024.

Durante la primera Conferencia de Networking para Becarios del CIRM, celebrada el año pasado en la Universidad del Sur de California, se expusieron más de 250 pósteres de investigación.

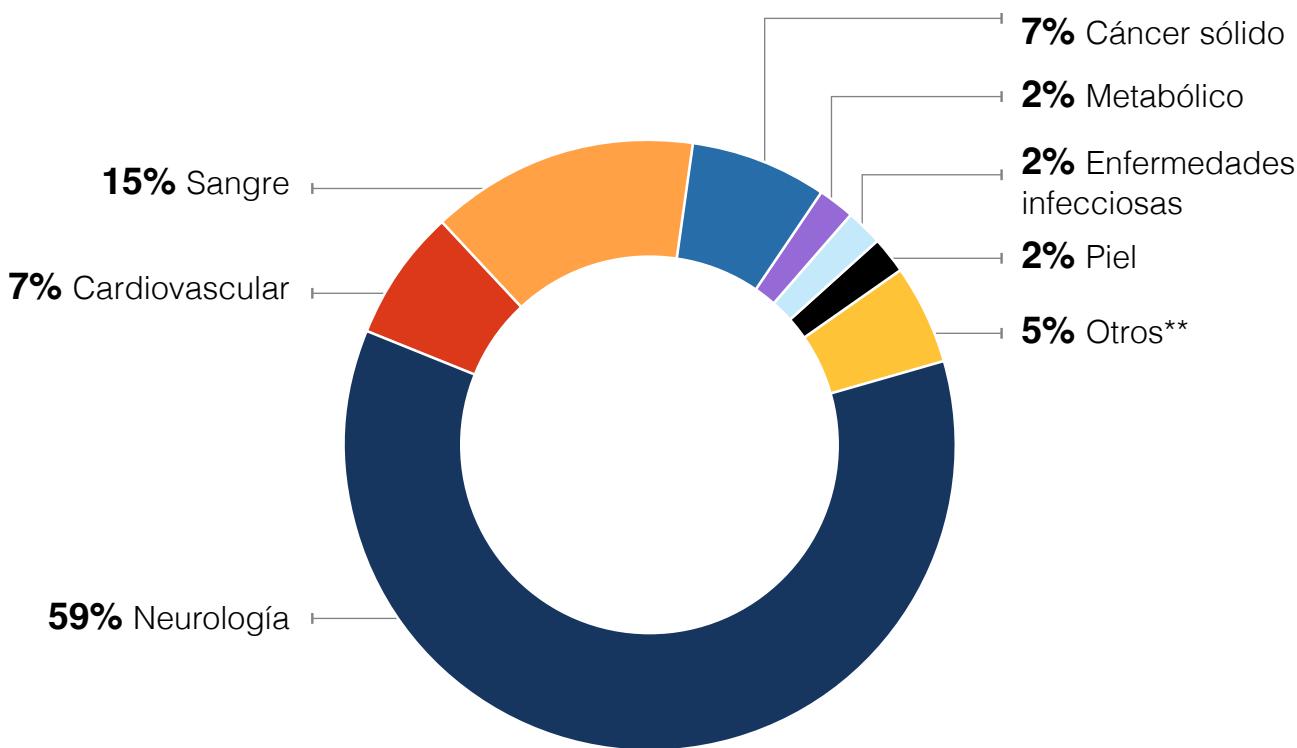


Resumen del Portafolio de Investigación

Durante el año fiscal 2024-2025, el CIRM siguió avanzando en su misión mediante la financiación de una amplia gama de proyectos de investigación en múltiples áreas terapéuticas. Este portafolio refleja nuestro compromiso con el apoyo a la investigación en fase de descubrimiento, traslacional y clínica que aborda tanto enfermedades y afecciones prevalentes como raras.

Portafolio de investigaciones financiadas por el CIRM por área terapéutica

Total de subvenciones para investigación del año fiscal 2024-2025: 41*



Los porcentajes se normalizan con respecto al número total de subvenciones para investigación aprobadas durante el año fiscal 2024-2025. La investigación incluye premios por descubrimientos, investigación traslacional e investigación clínica. Porcentajes redondeados al número entero más cercano.

*Los 41 premios incluyen los programas DISC2, DISC4 (enfoque neurológico), TRAN, CLIN1 y CLIN2. Se suspendieron las nuevas convocatorias de solicitudes para garantizar la alineación con las prioridades actualizadas del Marco de Asignación Estratégica y las estructuras de los programas. DISC0 se pospuso hasta el año fiscal 2025-2026 debido a los incendios forestales que azotaron el sur de California en enero de 2025.

**Otros incluyen: tolerancia al trasplante y tecnología/ herramientas.

Actualización del Presupuesto

Las actividades del CIRM se basan en cinco áreas críticas de inversión: Descubrimiento, traslación, clínica, educación e infraestructura. Cada pilar es esencial para avanzar en la investigación sobre células madre y terapia génica en todas las etapas.

Presupuesto para el año fiscal 2024-25: \$489.9 millones

Presupuesto para investigación para el año fiscal 2024-25:*	\$ 458.3 millones
Presupuesto administrativo para el año fiscal 2024-2025	\$ 31.6 millones
Fondos aprobados (subvenciones):	\$ 308.3 millones
Fondos restantes:	\$ 150 millones
Saldo bajo la administración actual:	\$ 624 millones
Número de proyectos activos adjudicados:	324

Presupuesto aprobado para el año fiscal 2025-26: \$505.7 millones

				
Investigación de descubrimiento	Investigación traslacional	Investigación clínica	Programas educativos	Programa de infraestructuras
\$158.2 millones	\$160 millones	\$135 millones	\$1.5 millones	\$51 millones

El CIRM invierte en investigación básica en fase inicial, o de “Discovery” (descubrimiento), que permite avanzar en la comprensión del funcionamiento de las células madre y los genes, y explora tratamientos y tecnologías nuevos y revolucionarios de terapia con células madre y génica.

El CIRM ayuda a que las mejores investigaciones a nivel de descubrimiento avancen al siguiente nivel mediante el establecimiento, el apoyo y la prueba del trabajo fundamental necesario para las aplicaciones de ensayos clínicos.

El CIRM está creando un portafolio de terapias de primer nivel y apoyando cada proyecto con recursos para aumentar sus posibilidades de éxito en los ensayos clínicos.

A través de los programas educativos, el CIRM está contribuyendo a formar a la próxima generación de científicos y técnicos en medicina regenerativa necesarios para avanzar en este campo.

El programa de infraestructura del CIRM crea centros reales y virtuales que proporcionan los recursos, la experiencia y la información necesarios para impulsar la misión del CIRM.

*La ICOC aprobó dos presupuestos semestrales para el ejercicio fiscal 24-25, que incluían un traspaso entre períodos.

**Ahora conocido como Desarrollo Preclínico



Líderar con visión e impacto

El progreso del CIRM está impulsado por el liderazgo de su junta directiva (también conocida como Comité Independiente de Supervisión Ciudadana), cuya experiencia en investigación, tratamiento de pacientes y ser ellos mismos los pacientes les inspira a situar a los californianos en el centro de todas sus decisiones.

Las medidas adoptadas por la Junta en relación con los nuevos programas de financiación, el apoyo a la investigación y la asistencia clínica, y las políticas de investigación se rigen por el Marco de Asignación Estratégica recientemente adoptado, que establece una hoja de ruta sobre cómo la agencia asignará los fondos restantes para impulsar los descubrimientos de la investigación en beneficio de los pacientes. Este marco garantiza que los fondos del CIRM aporten el máximo beneficio a las personas de California que

esperan una cura. El año pasado, el CIRM dio la bienvenida a seis nuevos miembros a su junta directiva, cuya experiencia diversa refuerza nuestro liderazgo: John Carethers, MD; Jeffrey Golden, MD; Hala Madanat, PhD, MS; Donald Taylor, PhD, MBA, CLP; Shauna Stark, MS; y Yael Wyte, MSW. Al mismo tiempo, el personal del CIRM continuó implementando programas, involucrando a las comunidades y gestionando subvenciones con transparencia y eficacia.

“Todos tenemos esperanza y todos queremos encontrar la cura para una enfermedad o para todas las enfermedades. Eso forma parte de nuestra esencia humana”, afirmó Wyte.

Con los pacientes como eje central de todas las decisiones, la Junta Directiva del CIRM mantiene su compromiso con la innovación, la colaboración y la mejora de la calidad de vida en toda California.