

INFORME ANUAL DE CALIFORNIA INSTITUTE FOR REGENERATIVE MEDICINE (INSTITUTO DE MEDICINA REGENERATIVA DE CALIFORNIA) (CIRM, por sus siglas en inglés) DE 2015

NUESTRA MISIÓN

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

Carta del director de la junta

JONATHAN THOMAS, PH.D., J.D.



Cuánto puede pasar en una década. La junta directiva de CIRM aprobó las primeras subvenciones de la agencia en septiembre de 2005. Fueron 16 modestas subvenciones que totalizaban \$12.5 millones para capacitar a una nueva generación de investigadores de células madre. Pero aun esas subvenciones no se financiaron hasta el siguiente mes de abril, cuando la junta organizó un novedoso mecanismo de financiación por medio de donantes, una medida que se hizo necesaria debido a un caso pendiente en el tribunal que impedía la emisión de bonos previstos para financiar nuestro trabajo. Unos años después, en 2015, CIRM otorgó 47 subvenciones que totalizaban \$135 millones en asignaciones para la investigación a todos los niveles.

Además, en 2005, la junta comenzó a solicitar ofrecimientos de ciudades en California para ubicar nuestra sede central, un concurso que ganó la ciudad de San Francisco. Después de 10 años de que San Francisco nos recibiera tan amablemente, en 2015 nos mudamos al otro lado de la Bahía, a las nuevas oficinas en Oakland, lo cual resultó en un ahorro considerable de costos para los votantes de California. En 2005, un año realmente formativo para CIRM, la agencia comenzó un proceso de audiencias públicas sobre su dirección, que finalmente resultó en la adopción de nuestro primer plan estratégico en diciembre del siguiente año. Después de dos revisiones de ese plan, en 2015, nuestro nuevo presidente, Randy Mills, se embarcó en un tour para escuchar a todos nuestros votantes, lo que resultó en un nuevo plan estratégico, adoptado unánimemente por la junta en diciembre de 2015.

Durante aquella primera década del proceso de las subvenciones, observamos la aceleración de toda la industria y, para finales del 2015, CIRM había ya financiado 15 ensayos clínicos, y la mayoría de los observadores del área, incluyendo un informe de National Academies of Science (Academias Nacionales de Ciencias), seleccionó a CIRM como un participante clave en el avance del ritmo de investigación de las células madre. Sin embargo, con nuestro nuevo plan estratégico, estamos intensificando ese esfuerzo. Tenemos la meta de financiar 50 ensayos clínicos más en solo cinco años. Pero con Randy y todo el equipo de profesionales dedicados en CIRM, así como una junta totalmente comprometida, no tengo ninguna duda de que realizaremos el mayor esfuerzo posible para alcanzar esta meta. Es lo mínimo que se merecen los pacientes con necesidades médicas no cubiertas, a quienes hemos destacado en nuestra declaración de objetivos fundamentales.

Carta del presidente y director ejecutivo

C. RANDAL MILLS, PH.D.



Buscamos siempre mejorar. Por eso estamos luchando. Trabajamos por una mejor infraestructura para convertir las ideas iniciales en ensayos clínicos innovadores, mejores prácticas regulatorias para fomentar tratamientos alentadores con células madre de una manera más eficaz y mejores tratamientos para los pacientes que los necesiten.

Pero en CIRM también debemos siempre esmerarnos por ser los mejores. Es por ese motivo que, en 2015, llevamos a cabo una revisión completa de la organización: de dónde provenía, en dónde estaba y, lo más importante, adónde deseábamos estar. Se consideraron todas las ideas. No se excluyó nada.

El resultado es nuestro plan estratégico, adoptado unánimemente por nuestra junta directiva este diciembre pasado. Delinea un nuevo curso audaz para la agencia de células madre, con metas claras que deseamos lograr en los próximos cinco años.

Es un plan bastante ambicioso. Incluye financiar 50 ensayos clínicos nuevos, descubrir 50 nuevos candidatos terapéuticos y disminuir a la mitad el tiempo que lleva integrar una idea prometedora a la clínica, en donde se puede probar en personas. Sabemos que el cumplimiento de esas metas no será fácil – nada que realmente valga la pena lo es – pero estamos seguros de que lo lograremos. En CIRM tenemos un equipo asombroso que está comprometido a lograr nuestra misión de desarrollar tratamientos para pacientes con necesidades médicas no cubiertas.

En los meses y años venideros, los mantendremos a ustedes, nuestros accionistas, informados sobre el progreso de este plan. Esta parte del proceso es imperativo porque si no nos concentramos firmemente en los resultados, tendremos escasas probabilidades de éxito.

Corremos una carrera contra el tiempo y lo sabemos. Hay demasiados pacientes que sufren. Demasiadas personas se están quedando sin opciones. Estamos comprometidos a hacer todo lo posible para cambiar la situación. Buscamos siempre mejorar.

ENSAYOS CLÍNICOS FINANCIADOS POR CIRM

En 2004, el 59 por ciento de los votantes de California aprobaron la creación de CIRM. Desde ese momento, nuestros fondos para la investigación han ayudado a que **18 proyectos pasen a la etapa de ensayo clínico**; también apoyamos tempranamente otros 10 proyectos que resultaron en ensayos clínicos.

Antes de que esté disponible ampliamente una nueva terapia en consultorios médicos, se lleva a cabo una prueba cuidadosamente regulada en personas. Esto sucede generalmente en tres fases:

Ensayos de la primera fase: Se determina la seguridad de la terapia en una pequeña cantidad de personas.

Ensayos de la segunda fase: Se confirma la seguridad de la terapia en un grupo algo mayor de personas y comienza a buscar la eficacia.

Ensayos de la tercera fase: Se confirma la eficacia de la terapia en grandes cantidades de personas.

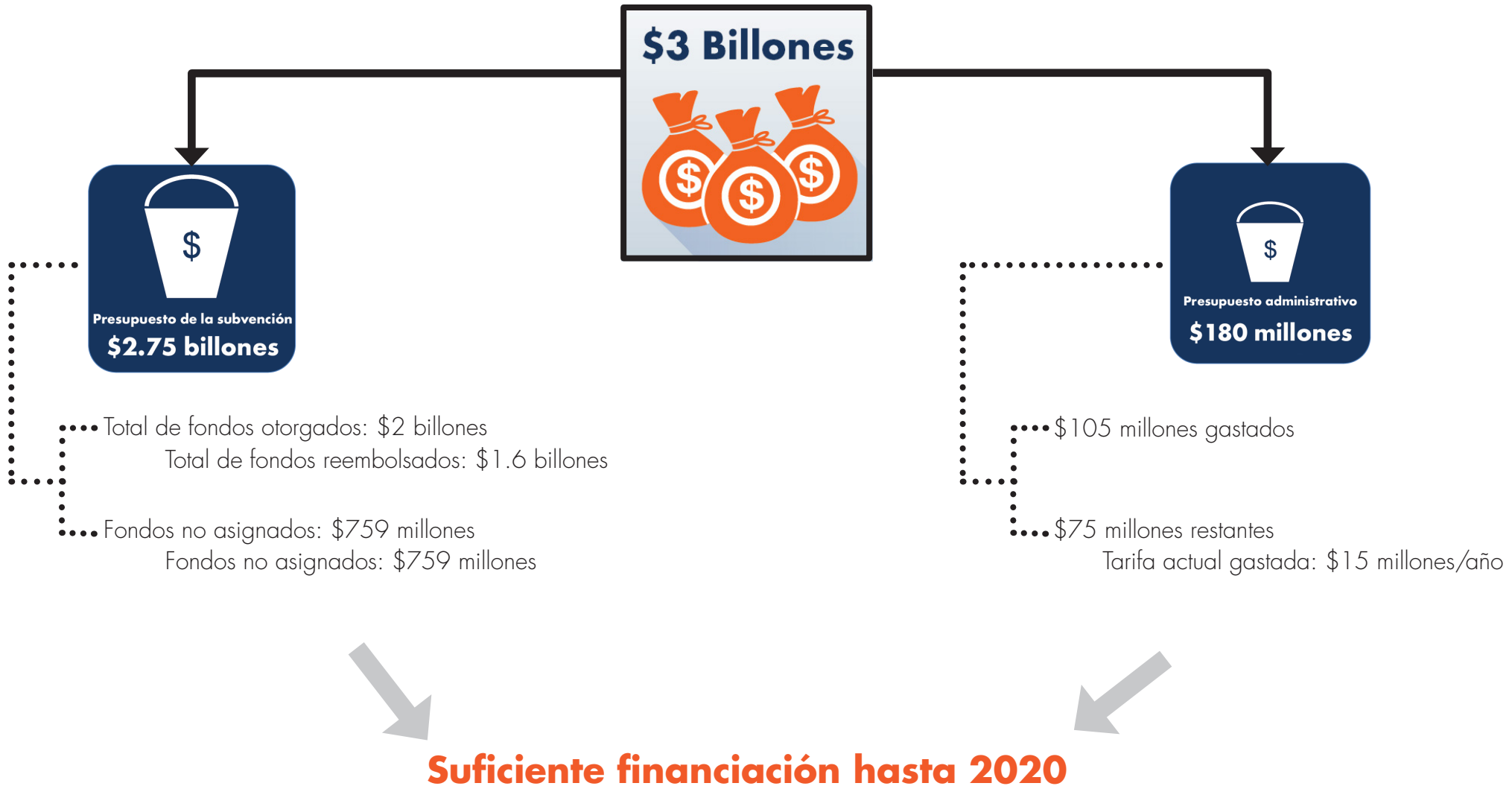
ENFERMEDAD EN LA QUE SE ENFOCA	PATROCINADOR DEL ENSAYO	CATEGORÍA DEL ENSAYO
CEGUERA/DEGENERACIÓN MACULAR	UNIVERSITY OF SOUTHERN CALIFORNIA (UNIVERSIDAD DEL SUR DE CALIFORNIA) (USC, por sus siglas en inglés)	FASE 1
CEGUERA/RETINITIS PIGMENTOSA	iCYTE	FASE 1/2
CÁNCER/CEREBRO	INMUNOCELULAR	FASE 3
CÁNCER/LEUCEMIA	UNIVERSITY OF CALIFORNIA IN SAN DIEGO (UNIVERSIDAD DE CALIFORNIA EN SAN DIEGO)	FASE 1
CÁNCER/TUMOR SÓLIDO	STANFORD	FASE 1
CÁNCER/TUMOR SÓLIDO	UNIVERSITY OF CALIFORNIA IN LOS ANGELES (UNIVERSIDAD DE CALIFORNIA EN LOS ÁNGELES) (UCLA, por sus siglas en inglés)	Fase 1
DIABETES	VIACYTE	FASE 1
ENFERMEDAD CARDÍACA	CAPRICOR	FASE 2
ENFERMEDAD CARDÍACA RELACIONADA CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE	CAPRICOR	FASE 1/2

ENFERMEDAD EN LA QUE SE ENFOCA	PATROCINADOR DEL ENSAYO	CATEGORÍA DEL ENSAYO
VIRUS DE INMUNODEFICIENCIA HUMANA (VIH)/SÍNDROME DE INMUNODEFICIENCIA ADQUIRIDA (SIDA)	CALIMMUNE	FASE 1/2
VIH/SIDA	CITY OF HOPE/SANGAMO BIOSCIENCES	FASE 1
VIH/SIDA	UNIVERSITY OF CALIFORNIA AT DAVIS (UNIVERSIDAD DE CALIFORNIA EN DAVIS) (UC DAVIS, por sus siglas en inglés)	FASE 1/2
ENFERMEDAD DE HUNTINGTON	UC DAVIS	OBSERVACIONAL
TRASTORNO INMUNOLÓGICO/ENFERMEDAD GRANULOMATOSA CRÓNICA	UCLA	FASE 1
ENFERMEDAD DE CÉLULAS FALSIFORMES	UCLA	FASE 1
LESIÓN DE LA MÉDULA ESPINAL	ASTERIAS BIOTHERAPEUTICS	FASE 1/2
CÁNCER/PIEL	CALADRIUS	CERRADO
LESIÓN DE LA MÉDULA ESPINAL	GERON	CERRADO

ESTADÍSTICAS DE FINANCIACIÓN DE LA INVESTIGACIÓN DE CIRM (a partir de diciembre de 2015)

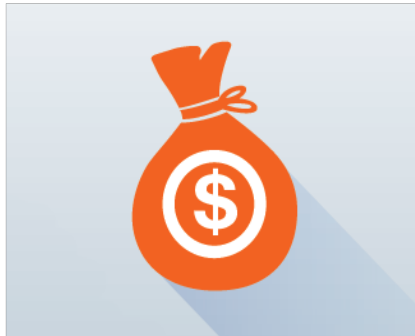
Resumen financiero

El proyecto de ley 71, que creó CIRM en 2004, autorizó \$3 billones en financiación – por medio de la venta de bonos estatales – para la investigación de células madre en California. A continuación, se detalla un resumen de esos fondos a partir de diciembre de 2015:



Vistazo de los fondos asignados en 2015

\$135 Million



Investigación otorgada en 2015

47



Subvenciones otorgadas en 2015

252



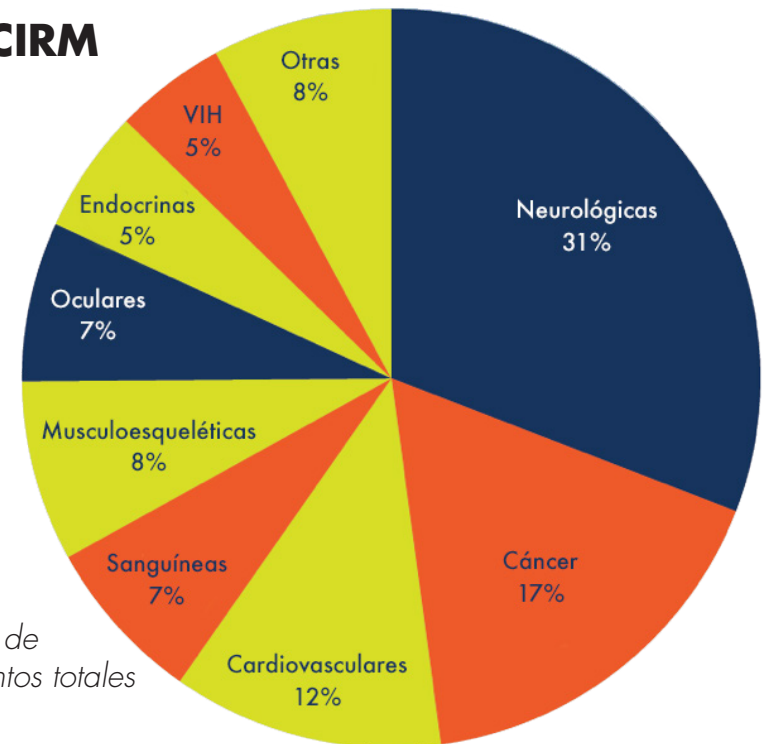
Programas activos de células madre
(a partir de diciembre de 2015)

Enfermedades en las que se enfocan los fondos de CIRM

A partir de diciembre de 2015, CIRM ha invertido \$1.3 billones en la investigación de enfermedades específicas entre una amplia gama de sistemas de órganos y tejidos.

Para obtener información adicional sobre los datos financieros de CIRM, visite:

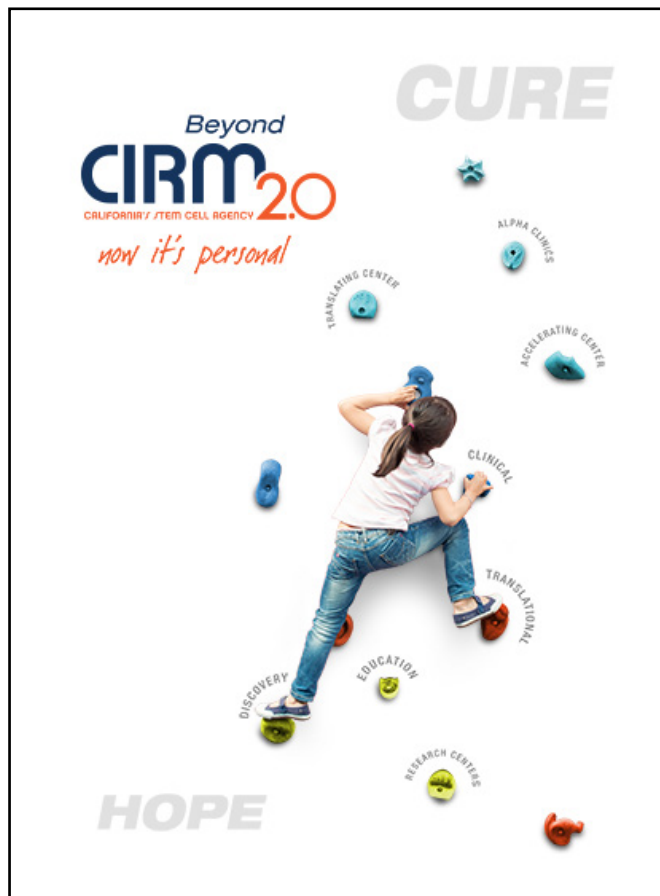
- **Página de asignaciones de fondos de CIRM:**
cirm.ca.gov/our-progress/cirm-funding-commitments
- **Declaraciones financieras anuales de CIRM:**
cirm.ca.gov/about-cirm/cirm-publications#financial



Porcentaje de otorgamientos totales

2016 y más allá: Plan estratégico de cinco años de CIRM

“No queríamos algo ‘simplemente aceptable’, queríamos algo ‘excelente’. Este plan es extremadamente ambicioso, pero también razonable en los objetivos que establece y la manera en que esos objetivos pueden cumplirse”.
C. Randal Mills, Ph.D



En 2015, bajo el liderazgo del presidente y director general, C. Randal Mills, Ph.D, el Instituto lanzó CIRM 2.0, que modifica radicalmente la manera en que opera la agencia. Específicamente, CIRM 2.0 introduce sistemas y programas más rápidos y eficaces que ponen un mayor énfasis en la velocidad, el trabajo conjunto y los pacientes.

Habiendo comenzado el lanzamiento de CIRM 2.0, la junta directiva de CIRM aprobó un nuevo plan estratégico en diciembre de 2015, a fin de crear una clara visión para los próximos cinco años del Instituto. El plan incluye seis objetivos principales, apodados “los 6 grandes”, que maximizan las posibilidades de que el Instituto impulse la mayor cantidad posible de nuevos tratamientos para pacientes con necesidades médicas no cubiertas.

Para leer o descargar el plan estratégico, visite::
https://www.cirm.ca.gov/sites/default/files/CIRM_StrategicPlan_2016.pdf

DISCOVER

50
NUEVOS
candidatos terapéuticos
o de dispositivos

ADVANCE

50%
MÁS
proyectos que avanzan
a la siguiente fase

REFINE

PROMULGACIÓN
de un paradigma
regulatorio
MEJOR
y más eficaz

ACCELERATE

50%
MENOS
tiempo para pasar del
descubrimiento a los
ensayos clínicos

VALIDATE

50
50 nuevos ensayos
clínicos que cubren 20
enfermedades o
problemas únicos

PARTNER

Más de un
50%
de programas
compartidos,
de fases clínicas, con
socios comerciales

*Promover de manera exponencial la misión de CIRM
definiendo el camino a seguir y liderando el recorrido.*