

# PERSEVERANCIA

de la teoría a la terapia

**Sneha Santosh**  
Ex alumna de "Bridges"  
e investigadora

**Catriona Jamieson**  
Médica y científica  
universitaria

**Byron Jenkins**  
Paciente

**Ysabel Durón**  
Defensora de  
pacientes

**Mark Chao**  
Médico e investigador  
de biotecnología



**Evie Padilla Vaccaro**  
Paciente

## CIRM

AGENCIA DE CÉLULAS MADRE DE CALIFORNIA

Informe de 18 meses, de 2019 a 2020

# Viviendo nuestra misión

**Trabajamos** con concentración y sentido de urgencia, como si la vida de alguien dependiera de esto. Porque así es.

## Sobre CIRM

En el Instituto para la Medicina Regenerativa de California (CIRM, por sus siglas en inglés), nunca nos olvidamos de que fuimos creados por el pueblo de California para acelerar los tratamientos con células madre para pacientes con necesidades médicas no cubiertas. Nos desempeñamos con sentido de urgencia para cumplir con esa misión.

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

Con más de \$3 mil millones en fondos disponibles y más de 1,000 programas de células madre en nuestra cartera, CIRM es una de las instituciones mundiales más grandes dedicadas a ayudar a la gente, haciendo que el futuro de la medicina celular se acerque cada vez más a la realidad.

## Proposición 71 de California

Abriendo camino a una nueva era de la medicina, la Proposición 71 de California nos proporciona la oportunidad de financiar proyectos a largo plazo, mantener juntos los equipos científicos basados en California, identificar la investigación más prometedora de células madre y respaldar y acelerar dicha investigación para lograr terapias que cubran las necesidades médicas de los californianos y del mundo.

El trabajo de CIRM ha resultado ser un elemento importante para obtener financiación adicional de los inversores para la investigación basada en California, lo cual tal vez no hubiese sido posible de ningún otro modo.

**Acelera los tratamientos con células madre**  
para pacientes con necesidades médicas no cubiertas

## Estimados californianos,



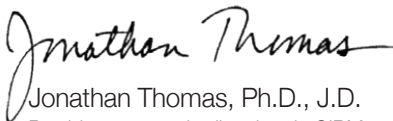
Bienvenidos a nuestro análisis retrospectivo de los últimos 18 meses en CIRM, que proporciona un panorama actualizado de nuestros logros y de todo lo que ha hecho California para establecer un centro global de la industria emergente de la medicina regenerativa aquí mismo en nuestro estado.

Nuestro trabajo de acelerar el descubrimiento y desarrollo de un nuevo campo de la medicina no solo brinda tratamientos y curas para pacientes con enfermedades graves y potencialmente mortales, sino que también beneficia a California en su totalidad.

Un informe independiente de impacto económico indica que el estado –liderado por la labor de CIRM– está generando miles de millones de dólares en nuevas ventas e ingresos fiscales, y creando decenas de miles de nuevos trabajos. Además, nuestros programas educacionales están formando una fuerza de trabajo de primera, para satisfacer la demanda de empleados en la cantidad cada vez mayor de compañías de medicina regenerativa de California.

CIRM acelera el desarrollo de proyectos científicos de calidad, incluso aquellos de medidas de emergencia para responder al COVID-19 en California, y pone terapias de avanzada a disposición de los ciudadanos de todo el estado por medio de la red de clínicas “Alpha” para tratamientos con células madre. También lideramos en la concientización sobre clínicas con métodos predatorios, que ofrecen “tratamientos” no comprobados que ponen en riesgo la salud y la vida de los pacientes, al tiempo que informamos a la población sobre terapias de alta calidad, científicamente sólidas.

Nuestro compromiso, como siempre, es atender a los pacientes necesitados. Estamos seguros de que el trabajo de primera categoría que hemos posibilitado hará exactamente eso.

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

## Estimados amigos,

En los últimos 18 meses, CIRM ha respaldado 14 ensayos clínicos adicionales (un total de 64). Cuando se desató la pandemia de coronavirus, el modelo de financiación de CIRM nos dio flexibilidad para responder rápidamente, respaldando la investigación de COVID-19, incluyendo tres ensayos clínicos. También estamos probando terapias que desarrollamos aquí mismo, en California, para tratar el cáncer, la diabetes, la enfermedad de células falciformes y otras enfermedades graves.

La recopilación de evidencia científica lleva tiempo, pero CIRM ha acelerado el ritmo al que avanza la investigación y el descubrimiento de medicina regenerativa en California y la velocidad a la que se pone a disposición de pacientes en todo el estado.

El proceso de obtener la aprobación de una terapia por parte de la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) puede llevar de 12 a 15 años, requerir miles de pacientes para ensayos clínicos y costar miles de millones de dólares. CIRM está ayudando a superar esos obstáculos, trabajando en colaboración con la FDA para crear un proceso simplificado de aprobación que provea tratamientos muy necesarios a los pacientes con pocas opciones, si las hay, para aliviar sus afecciones debilitantes o mortales.

Una característica que distingue a CIRM es su capacidad para identificar, investigar y respaldar avances científicos prometedores de alto riesgo pero elevadas recompensas en su etapa de descubrimiento, lo cual nos permite respaldar proyectos que de otro modo languidecerían por falta de fondos. Esta es la etapa de la investigación que impulsa la innovación pero raras veces atrae inversiones comerciales. Como se destaca en este informe, CIRM ha proporcionado respaldo crítico a descubrimientos científicos en su etapa temprana, en instituciones científicas que luego establecieron sociedades e inversiones comerciales que ahora ayudan a acercar los tratamientos a los pacientes.

Como verá en este informe anual, la perseverancia del liderazgo de CIRM, de los investigadores a quienes financiamos y de la comunidad de defensores de pacientes a quienes servimos está construyendo una realidad perdurable.



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



# Fomentando la ciencia

Acelerando el progreso  
Alineando las oportunidades

## Un ecosistema totalmente nuevo para fomentar la medicina regenerativa

En los Estados Unidos, lleva un promedio de 12 a 15 años para que un nuevo medicamento químico típico avance del laboratorio a un paciente. Incluso así, de cada 5,000 medicamentos nuevos que se elaboran, solo cinco llegan a la etapa de los ensayos clínicos y solo uno obtiene la aprobación de la FDA. Se dice que el costo de introducir un solo medicamento en el mercado es de más de \$ mil millones.

En California, 64 programas respaldados por CIRM para encontrar nuevas terapias médicas (no medicamentos químicos, sino terapias creadas de las propias células del organismo), han avanzado a la etapa de ensayos clínicos. CIRM también financió 30 proyectos más en etapas tempranas que posteriormente avanzaron a la etapa clínica de desarrollo, inclusive dos que han sido aprobados por la FDA. Estas terapias emergieron del campo completamente nuevo de la ciencia médica basado en terapias génicas y con células madre.

A junio de 2020, cuatro de los ensayos clínicos respaldados por CIRM están en la etapa final anterior a la aprobación de la FDA (etapa III).

A diferencia de los proveedores de fondos tradicionales de la investigación médica, CIRM ha desarrollado un método de sistemas para descubrir y acelerar tratamientos médicos innovadores y ha creado un campo nuevo, en crecimiento y multidisciplinario, de la ciencia médica – la medicina regenerativa – en California.

Se le atribuye a CIRM el haber creado un robusto canal de investigaciones, desarrollo y ensayos clínicos, haciendo las cosas de forma diferente.



### Acelerando el progreso

**Minimizando los riesgos** de la innovación financiando la investigación temprana (o ciencia investigativa): la etapa de la investigación que fundamenta la innovación pero frecuentemente es pasada por alto por otras fuentes de financiación.

**Evaluando** las solicitudes de subvenciones con rigor e incorporando las opiniones de las comunidades de pacientes, así como el conocimiento de los expertos en sus campos.

**Estructurando** subvenciones que dependen del cumplimiento de ciertas metas e hitos científicos.

**Reuniendo** a los beneficiarios de las subvenciones con un panel de asesores que ayuda a acelerar el avance de los investigadores y aporta experiencia, conocimiento y recursos para superar obstáculos y ayudar a prepararse para los ensayos clínicos y superarlos.

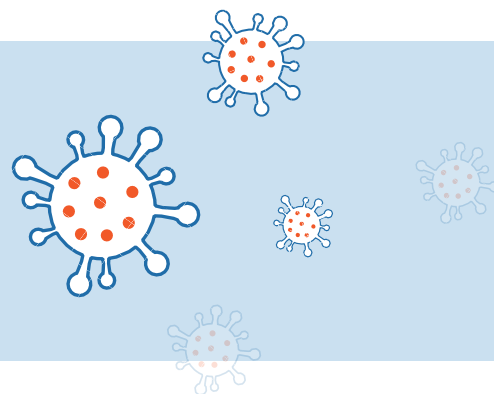
**Respaldando** el desarrollo de la fuerza de trabajo, a fin de preparar a jóvenes en California para carreras en medicina regenerativa.

**Poniendo** ensayos clínicos en centros médicos de primera categoría a disposición del pueblo de California por medio de nuestras instituciones financiadas y la red de clínicas de células madre “Alpha” de CIRM.



# ABORDANDO COVID-19

## Porque cada momento cuenta



Cuanto más pronto brindamos respaldo a los investigadores, más pronto podemos proporcionar terapias que salvan vidas. El modelo operativo de CIRM se ha convertido en el patrón de financiación rápida y aceleración de la investigación médica pero, ante la crisis de COVID-19, nos dimos cuenta de que teníamos que ir más allá. Creamos un fondo de emergencia de \$5 millones para una investigación rápida, a fin de abordar la pandemia, y redujimos de manera drástica el tiempo que le toma a una solicitud de subvención pasar de la solicitud a la financiación, lográndolo en cuatro semanas, en vez de cuatro meses.

Dentro de unas pocas semanas de aprobarse la financiación, estábamos respaldando un ensayo clínico para determinar si el plasma sanguíneo de pacientes que se habían recuperado del virus podía ayudar a aquellos recientemente infectados. Se ha designado otro ensayo para mitigar el daño que el virus causa a los pulmones.

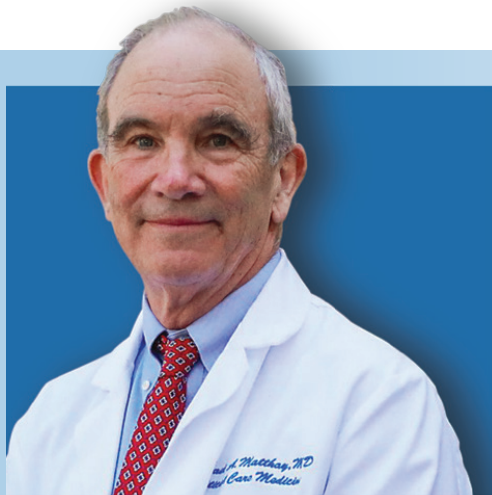
Los tiempos extraordinarios requieren medidas extraordinarias, y CIRM y el estado de California están al frente de estos esfuerzos.

Nuestra red de clínicas de célula madre “Alpha” de CIRM – con cinco clínicas a lo largo del estado – expandió rápidamente sus esfuerzos para responder al coronavirus:

**Inscribiendo** a pacientes en ensayos clínicos para probar posibles terapias para COVID-19.

**Expandiendo** el acceso a la telemedicina para comunicarse con los pacientes del ensayo sin que tengan que viajar al centro médico.

**Creando** modelos de células madre en el laboratorio para probar posibles vacunas y medicamentos antes de probarlos en personas.



**Michael Matthay, M.D.**  
Universidad de California, San Francisco

La financiación de CIRM está ayudando al Dr. Michael Matthay, en la Universidad de California, San Francisco, a expandir un ensayo clínico para ayudar a comunidades de bajos recursos. Las personas de color han sido afectadas de manera desproporcionada por el brote de COVID-19, pero generalmente no están bien representadas en muchos ensayos clínicos. El Dr. Matthay y sus colegas investigadores están cambiando eso: asegurándose de que los posibles tratamientos beneficien a todos los californianos, sin importar sus ingresos, la categoría de su seguro o su grupo étnico.

*Uno de los aspectos más mortales del COVID-19 es la manera en que ataca los pulmones. Aun para los pacientes que sobreviven una insuficiencia respiratoria, el proceso de volver a una vida cotidiana normal y al trabajo puede llevar hasta un año.*

El Dr. Matthay dirige un ensayo clínico utilizando células madre para tratar a personas con síndrome de insuficiencia respiratoria aguda (ARDS, por sus siglas en inglés), una forma extrema de insuficiencia respiratoria que se encuentra en muchos pacientes con casos graves de COVID-19. Él explica: “Esta terapia con células madre ha sido diseñada para ayudar a que los pulmones se reparen a sí mismos, retirar a los pacientes de los ventiladores y aumentar las probabilidades de sobrevivir de los pacientes”.



**Ensayo clínico**  
financiado por CIRM

## Siguiendo la ciencia: de California al mundo

### Transformando el conocimiento, el descubrimiento y la ciencia en innovación

La inversión significativa y sostenida – liderada por CIRM, junto con otros proveedores de fondos – sigue la ciencia.

La ciencia comienza con la investigación y el descubrimiento básicos de cómo funcionan las células madre. Esta etapa temprana de la investigación es donde toman forma las terapias de avanzada pero, como todavía no se han probado las ideas, los proveedores de fondos pueden resistirse a invertir. El enfoque de CIRM es diferente. CIRM tiene sistemas que ayudan a identificar y respaldar los proyectos científicos más prometedoros, en las etapas más tempranas de desarrollo, abriendo caminos e inspirando a otros proveedores de fondos a participar.

En la siguiente etapa, los investigadores toman estas nuevas ideas y descubrimientos y los convierten en posibles terapias diseñadas para resolver problemas médicos específicos. Finalmente, se prueban solo las ideas más prometedoras en ensayos clínicos.

A cada paso del camino, CIRM colabora con los investigadores – introduciendo expertos externos según sea necesario – para ayudarlos a avanzar y ser exitosos.

### Una nueva industria sigue a una nueva ciencia

La medicina regenerativa está floreciendo en California. La investigación continúa acelerándose a un ritmo rápido, la cantidad de biotecnología en el estado continúa aumentando, la financiación de una amplia variedad de fuentes sigue el ejemplo de CIRM y la cantidad de ensayos clínicos en la etapa de aprobación de la FDA ha aumentado exponencialmente.

“Vamos a ver que más y más productos llegarán al mercado...estamos en una porción esencialmente muy empinada de una curva de crecimiento”.

**Dr. Peter Marks** del Centro para la Evaluación e Investigación Biológicas (Center for Biologics Evaluation and Research) de la FDA, en una reunión de 2019 de la Alianza para la Medicina Regenerativa (Alliance for Regenerative Medicine)



# La científica que no aceptó un no por respuesta

**Catriona Jamieson, M.D., Ph.D.**  
Universidad de California, San Diego



Investigadora financiada por CIRM

*Ser una gran científica no tiene que ver solo con tener una mente brillante. También tiene que ver con ser persistente. La Dra. Catriona Jamieson personifica esas dos cualidades. La médica e investigadora de la Universidad de California, San Diego, que actualmente es directora de las Clínicas “Alpha” de CIRM, abogó por la investigación temprana, la cual fue respaldada por CIRM y llevó a la creación de una terapia llamada fedratinib, para tratar la mielofibrosis, un tipo de cáncer sanguíneo que se origina en la médula ósea.*

## PERSISTENTE

Durante los ensayos clínicos, la compañía propietaria de los derechos del fedratinib suspendió las pruebas – cuando el medicamento estaba muy cerca de ser aprobado por las regulaciones – después del fallecimiento de un paciente. Aunque se comprobó que la terapia era efectiva en pacientes, ayudando a muchos que no tenían otras opciones de tratamiento, los reguladores estadounidenses detuvieron el medicamento por causas de seguridad.

La Dra. Jamieson creía que esta terapia era demasiado prometedora para dejarla de lado, así que luchó para que el medicamento continuara avanzando.

La Dra. Jamieson luego fue cofundadora de una compañía que reanudó el desarrollo del fedratinib y lideró la investigación necesaria para demostrar que no solo era seguro, sino también eficaz.

En agosto de 2019, la FDA aprobó el medicamento, que ahora se promociona con el nombre de INREBIC®, el primer tratamiento para la mielofibrosis en una década.

## Inversiones estratégicas de 2019-2020

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



### Educación

CIRM está ayudando a California a prepararse para el futuro, inspirando y guiando a la próxima generación de científicos. Invertimos en estudiantes y jóvenes, creando prácticas, programas educativos y oportunidades de capacitación que proveen las habilidades necesarias para una carrera en la industria emergente de la medicina regenerativa.

### Infraestructura

CIRM ayudó a crear 12 laboratorios de avanzada que atrajeron a algunos de los mejores científicos del mundo a California. Creamos una red de centros médicos de primera categoría para proporcionar tratamientos a pacientes y un banco de investigación de células madre que ahora es el más grande de su tipo en el mundo.

### Descubrimiento

Cada gran invención comienza con una idea simple: alguien se atreve a plantear la pregunta que comienza con “Me pregunto si”. CIRM comparte ese sentido de asombro y curiosidad. El descubrimiento – investigación de nivel básico – es la clave de la innovación y lo esencial de todo lo que hace CIRM. La ciencia avanza gracias a las nuevas ideas que abren los horizontes de la ciencia y los científicos que se atreven a formular la famosa pregunta “¿y si...?”.

### Traslacional

La meta de CIRM es tomar cada una de las ideas que tenga potencial y ayudar a respaldarla y desarrollarla, desde una teoría interesante hasta una terapia prometedora. La investigación traslacional hace eso, basándose en lo que se aprendió en el descubrimiento y luego impulsándolo a la siguiente etapa de ensayos clínicos, donde vemos si realmente funciona.

### Clínico

Todo lo que hace CIRM se concentra en la obtención de terapias para pacientes. Los ensayos clínicos – en los que se prueban nuevas terapias en personas – son un paso final vital en ese proceso. Solo los mejores proyectos llegan a este punto y, hasta la fecha, CIRM ha financiado 64 ensayos clínicos. Otros 30 proyectos, en los que CIRM proporcionó respaldo temprano, también han pasado a ensayos clínicos, incluso dos que han sido aprobados por la FDA.



EL SOLDADO MÁS IMPORTANTE

# TOP GUN



**Byron Jenkins**

Paciente



**Ensayo clínico** financiado por CIRM

El oficial de vuelo de las Fuerzas Navales de los Estados Unidos y experto en armas de guerra, Byron Jenkins, se enfrentó a un enemigo personal mortal: el cáncer sanguíneo. En junio de 2013, se le diagnosticó un mieloma múltiple, un cáncer sanguíneo que fluía por su cuerpo. Tras dos años de tratamiento tradicional – quimioterapia y radiación – seguía confinado en cama. Habiendo sido una vez un atleta consumado, casi no podía moverse. Se sentía desesperado. “Estaba vivo, pero no estaba viviendo”, dijo él.

“El concepto fundamental de dejar que mi propio sistema inmune luchara contra la enfermedad fue un consuelo para mí. La posibilidad de que la naturaleza teórica de este procedimiento nunca deje de funcionar, me permite tomar decisiones en mi vida, sin transigir”.

Una terapia de células T con receptores de antígenos quiméricos (CAR-T, por sus siglas en inglés) financiada por CIRM tomó células del propio sistema inmune de Byron (células T), las reestructuró en el laboratorio y las convirtió en un arma para reconocer y neutralizar las células cancerígenas. Poniendo eso en términos de aviación naval, las células T son como un avión “F-14 Tomcat”: construido para luchar y triunfar.

Pocas semanas después del tratamiento, Byron dejó de tomar todos los medicamentos. Hoy en día, puede volar alto y disfruta de una vida plena y activa con su familia.



BIG 2020

## Metas de 5 años “The Big 6”

Resultados al 30 de junio de 2020



**Introducir** 50 nuevos candidatos a tratamientos en desarrollo



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



**Promulgar** un nuevo paradigma regulatorio más eficaz para las terapias celulares

terapias financiadas por CIRM, calificadas para una revisión acelerada de FDA (terapia avanzada de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés))



**El 72%** de los candidatos logró presentar una solicitud de investigación de un nuevo medicamento (IND, por sus siglas en inglés) dentro de un período de 24 meses

**Reducir** el tiempo de traslación (del descubrimiento al ensayo clínico) en un 50%



**Agregar** 50 nuevos ensayos clínicos a la cartera de CIRM

47 ensayos agregados en cinco años (total de 64)



**Combinar** un 50% de proyectos clínicos sin colaboradores con colaboradores comerciales

59% de colaboración

En 2015, CIRM expuso un plan estratégico audaz con metas ambiciosas, trazando un curso para los próximos cinco años. Ahora que nos acercamos al tramo final del plan, las metas que una vez parecían audaces ya han sido cumplidas y otras están ahora a nuestro alcance.

Durante los últimos cinco años, CIRM ha creado un sistema mejor, más rápido y más eficaz para fomentar la ciencia de terapias génicas y con células madre. Al crear un modelo para acelerar la medicina regenerativa, CIRM está revisando rápidamente y aprobando solicitudes de subvención, acelerando la financiación de los solicitantes exitosos, creando nuevos caminos para los investigadores financiados por CIRM para continuar siendo exitosos con colaboradores comerciales y ayudando rápidamente a superar los posibles obstáculos regulatorios de las posibles terapias.

Por ejemplo, antes de 2015, el tiempo que llevaba pasar un proyecto de la solicitud a la financiación era más de un año. Hoy en día, lleva alrededor de cuatro meses. Con el inicio rápido sin precedentes de la pandemia de coronavirus y la necesidad debido a una urgencia aún mayor de lograr poner en marcha los proyectos, CIRM aceleró aún más el proceso de aprobación de subvenciones, reduciéndolo a unas cuatro semanas.

Nunca dejamos de buscar maneras de mejorar, ser más rápidos, hábiles y receptivos. ¿Por qué? Porque por eso estamos aquí, para acelerar los tratamientos con células madre para pacientes con necesidades médicas no cubiertas.



# 64 ensayos clínicos financiados

CIRM no solo financia la investigación de células madre, sino que también la respalda a cada paso del camino.

CIRM colabora con los pacientes y los defensores de pacientes para agregar su conocimiento y experiencia a nuestro trabajo, ayudando a guiar y dar forma a los proyectos en los que invertimos.

Firmemente enraizados en California

**5** clínicas de células madre “Alpha” ubicadas en toda California, creadas para proporcionar terapias con células madre a los pacientes que las necesiten

**6** proyectos designados como terapias avanzadas de medicina regenerativa (RMAT, por sus siglas en inglés) por la FDA, volviéndolos potencialmente elegibles para una revisión y aprobación más rápidas

**12** laboratorios de investigación de células madre, de primera categoría, financiados para hacer avanzar dicho campo en el estado de California

**14** proyectos que están en la última etapa de pruebas preclínicas, el paso final antes de solicitar a la FDA un permiso para comenzar un ensayo clínico

**30** proyectos a los que proporcionamos financiación para la investigación de etapa temprana han pasado a la etapa de ensayo clínico

Más de **40** niños nacidos con inmunodeficiencia combinada grave (SCID, por sus siglas en inglés), un trastorno inmune mortal, curados

**64** ensayos clínicos para COVID-19, cáncer, derrame cerebral, enfermedad cardíaca, diabetes, pérdida de la vista, enfermedad de células falciformes, virus de inmunodeficiencia humana (VIH)/síndrome de inmunodeficiencia adquirida (SIDA), lesión de la médula espinal, leucemia, trastornos inmunes, insuficiencia renal, artritis, enfermedad de Parkinson y mucho más

Más de **1,000** proyectos desde investigaciones en etapa temprana hasta ensayos clínicos

Más de **2,000** pacientes inscritos en ensayos clínicos financiados por CIRM

Cumpliendo nuestra misión

# La ciencia impulsa la inversión

## Una industria emergente crea un catalizador económico

Considerando la salud y el bienestar económico del estado, CIRM respalda tratamientos transformativos que pueden brindar nuevas terapias a pacientes al tiempo que construye el principal centro mundial de innovación para la investigación de células madre, lo cual está atrayendo la inversión financiera, la industria y los principales talentos al estado.

Los esfuerzos de CIRM han estimulado el crecimiento de la industria de la medicina regenerativa en California. El grupo estatal de terapia génica y con células madre, que crece rápidamente, está teniendo un impacto significativo en la economía de California.

Un [informe sobre el impacto económico de 2019](#) destaca el impacto de los programas de CIRM, incluyendo:



### Impacto económico de CIRM

**\$10.7 mil millones** en ingresos adicionales por ventas

**\$641 millones** más en impuestos estatales y locales

**Más de 56,500** nuevos trabajos creados

El estudio, llevado a cabo por investigadores en la Facultad de Política Pública "Sol Price" (Sol Price School of Public Policy) de la Universidad del Sur de California (University of Southern California, USC), descubrió que aproximadamente la mitad de los nuevos trabajos eran en sectores de la salud relacionados con la investigación, la fabricación y el servicio médico. También se crearon nuevos trabajos en sectores que respaldan indirectamente a la investigación de células madre, tales como los de la construcción y los servicios alimentarios. Como lo señalan los autores del informe, "Debido a las relaciones sólidas de los sectores en la economía de California, todos los sectores estatales se benefician de la existencia de CIRM".

La industria de la medicina regenerativa está preparada para un futuro crecimiento y, como uno de los principales centros de terapia génica y basada en células madre, se espera que el estado de California continúe siendo un líder mundial a medida que avanza la industria.

El respaldo de CIRM lleva a la formación y el crecimiento de compañías biotecnológicas innovadoras que atraen la inversión privada al estado.

Una amplia gama de programas respaldados por CIRM ha causado el crecimiento rápido de compañías biotecnológicas que enriquecen la economía de California, haciendo avanzar la ciencia y generando ingresos fiscales para el estado:

## Inversiones estratégicas respaldadas por CIRM

Beneficiario	Área de enfoque	Respaldo de CIRM	Hito comercial
<b>Forty Seven Inc.</b> Forty Seven Inc. (por medio de la Universidad de Stanford)	Un nuevo enfoque inmunoterapéutico para tratar el cáncer	Investigación en etapas tempranas, desarrollo preclínico y ensayos clínicos	Adquirido por Gilead Sciences, Inc., basada en California, en abril de 2020, por casi \$5 mil millones
<b>jCyte</b>	Células madre adultas para ayudar a combatir una enfermedad que destruye la vista	Investigación en etapas tempranas, desarrollo preclínico y ensayos clínicos	Se reunieron \$252 millones en un acuerdo de autorización
<b>POSEIDA THERAPEUTICS</b>	Inmunoterapias basadas en células para combatir el cáncer	Desarrollo preclínico y ensayos clínicos	\$283 millones en financiación de capital de riesgo, incluyendo \$75 millones de Novartis
<b>VIACYTE</b>	Terapia de sustitución celular para la diabetes de tipo 1	Investigación en etapas tempranas y ensayos clínicos	\$115 millones en financiación de capital de riesgo y asociaciones industriales
<b>TENAYA THERAPEUTICS</b>	Terapias génicas para la enfermedad cardíaca	Investigación en etapas tempranas	\$142 millones en financiación de capital de riesgo



Paul Bresge no es un director ejecutivo común y la compañía que dirige, jCyte, no es una compañía como las otras. jCyte ha creado una terapia para tratar a personas con retinitis pigmentosa (RP), una enfermedad rara que destruye la vista.



Financiación de colaboraciones industriales

Los ensayos clínicos financiados por CIRM demostraron ser muy prometedores y atrajeron ofrecimientos de posibles inversores para la terapia con células progenitoras retinianas humanas (jCell, por sus siglas en inglés), pero Bresge esperó hasta encontrar una compañía que en su opinión creía en la terapia tanto como él antes de incorporar a un nuevo socio inversor. En mayo de 2020, jCyte se asoció con Santen Pharmaceutical en una transacción de hasta \$252 millones. Estos fondos proporcionan un respaldo a jCyte para impulsar el desarrollo clínico necesario, a fin de que la terapia con células progenitoras retinianas humanas (jCell) esté más ampliamente disponible.

Bresge dice que nada de esto hubiera sido posible sin CIRM y la guía y el asesoramiento de la vicepresidente para terapéutica de CIRM, Dra. Abla Creasey.

“CIRM respaldó nuestros datos preclínicos tempranos durante toda la última etapa de los ensayos clínicos. Esta financiación decisiva nos dio la capacidad única y la flexibilidad necesaria para priorizar a los pacientes en cada una de las decisiones que tomamos sobre la marcha”.

Paul Bresge, Director ejecutivo, jCyte, Inc.



## Cofinanciación/financiación asociada/financiación adicional

Para construir algo sólido y duradero, se necesita mucha ayuda. Ninguna persona o compañía puede hacer todo por sí misma, ni siquiera CIRM. Podemos establecer las bases, pero para llevar las terapias más prometedoras a niveles que ayuden a todos los pacientes que se beneficiarían de las mismas, necesitamos colaboradores. En particular, los colaboradores industriales ayudan a crear acceso a capital y experiencia adicionales.

Cuando CIRM habla sobre la financiación industrial, queremos decir inversiones en proyectos de medicina regenerativa que CIRM ha respaldado previa o actualmente.

Cuando los inversores ven cómo el trabajo que estamos respaldando no solo es prometedor sino que también produce resultados, están deseosos de ser parte del programa.

Desde 2015, hemos podido atraer \$8.9 mil millones en inversión industrial en investigadores y compañías que respaldamos. Ese dinero ayudará a que esas terapias prometedoras finalicen los ensayos clínicos necesarios, para demostrar que son tanto seguros como eficaces. Los ayudará a obtener la aprobación de la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA), a fin de que estén disponibles para millones de personas, no solo los pocos afortunados que participan en un ensayo clínico.

CIRM es un prestamista de primer orden. Respaldamos proyectos mucho antes de que la mayoría de los inversores estén listos para incorporarse. Nuestro apoyo, debido a que nos esforzamos mucho para asegurarnos de respaldar solo los proyectos científicos más fidedignos, ayuda a eliminar parte del riesgo del proyecto, dándole a los proveedores de fondos privados una mayor seguridad de que una inversión temprana es una medida sensata.

Cada año, la nueva financiación privada ha aumentado drásticamente: de \$45.5 millones en 2015 a más de \$5 mil millones en 2020.

### Nueva financiación industrial Inversión por año

2015	\$45.5 millones
2016	\$153 millones
2017	\$389 millones
2018	\$1.3 mil millones
2019	\$1.5 mil millones
2020	\$5.5 mil millones

Total de financiación industrial, de 2015 a 2020:  
**\$8.9 miles de millones**

## CIRM y el impacto de la colaboración de la industria privada

Al respaldar tempranamente programas prometedores de investigación, CIRM ha logrado traer algunos de los mejores proyectos científicos a California, lo cual ha atraído inversiones científicas y comerciales significativas adicionales al estado y ayudado a lanzar nuevas compañías de terapia basada en células.

Más de **1,000**  
proyectos financiados

Más de **\$8 mil millones**  
en inversiones industriales atraídas

Más de **40**  
subdivisiones catalizadas

# Ayudando a los pacientes a derrotar el cáncer

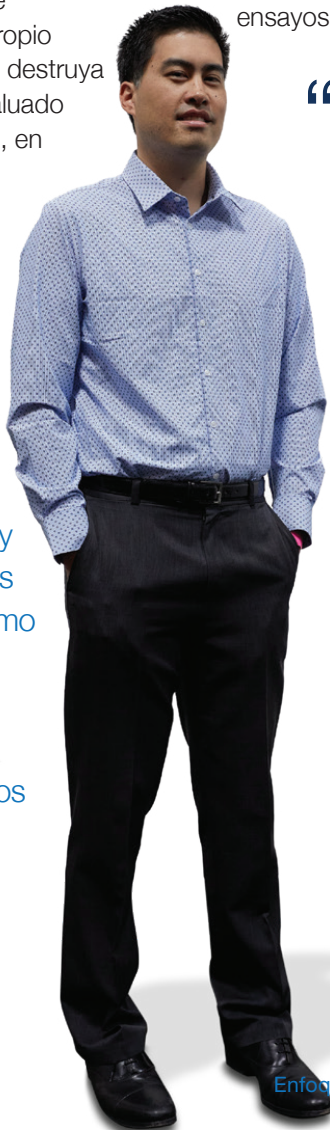
## activando sus propios sistemas inmunes

Los glóbulos blancos mantienen fuerte a nuestro sistema inmune. Algunos de ellos tienen la tarea de atacar las amenazas rodeándolas y digiriéndolas (en ocasiones se dice que estas células se “comen” a los invasores) y alertando a otras células para que se unan a la batalla. Pero las células cancerosas listas pueden usar una señal que dice “no me coman”, llamada CD47 (proteína integral de la membrana), impidiendo que los glóbulos blancos lleven a cabo su tarea.

El enfoque central de Forty Seven Inc. es crear un anticuerpo que bloquee las señales de CD47 y simultáneamente estimule las señales de “cómanme”, lo cual haría posible que el propio sistema inmune de los pacientes ataque y destruya el cáncer. Este anticuerpo está siendo evaluado actualmente en múltiples estudios clínicos, en pacientes con síndrome mielodisplásico, leucemia mieloide aguda, linfoma no Hodgkin, cáncer de ovario y carcinoma.

Al invertir en una investigación temprana, innovadora y potencialmente transformativa, CIRM disminuye los riesgos de las investigaciones pioneras. Armados con el sello de aprobación de CIRM y sus asesores expertos y recursos, los programas de investigación tales como el proyecto anticanceroso de la Universidad de Stanford están bien posicionados para lograr resultados tempranos y atraer inversores y socios comerciales.

Este novedoso descubrimiento anticanceroso fue logrado por los investigadores, incluyendo a Mark Chao en la Universidad de Stanford, en 2010. Otras posibles fuentes de financiación pasaron por alto esta ciencia prometedora, pero CIRM creía que este descubrimiento tenía potencial y que algún día fortalecería a los pacientes para luchar contra el cáncer con sus propias células inmunes. CIRM no solo proporcionó tempranamente una financiación, sino que también reunió un panel de asesoramiento clínico, formado por expertos, para ayudar a impulsar al programa y a superar los problemas, mientras la investigación avanzaba de la etapa de descubrimiento hasta la de desarrollo y de ensayos clínicos.



“El respaldo de CIRM ha sido fundamental para que fuéramos capaces de impulsar rápidamente el enfoque de Forty Seven, que se concentra en el uso de los anticuerpos CD47”.

**Mark Chao**, M.D., Ph.D., cofundador y vicepresidente principal de desarrollo clínico, Forty Seven Inc.

### ***Un salto adelante en el tiempo hasta abril de 2020:***

la ciencia descubierta en Stanford (que más adelante se convirtió en Forty Seven Inc.) fue adquirida por Gilead Sciences Inc. por casi \$5 mil millones y combina la experiencia de Forty Seven y la solidez de Gilead para crear tratamientos que modifican el sistema inmune.

# Formando la fuerza de trabajo de California

Para abrirle la puerta a una nueva era de la medicina se necesita mucho más que simplemente financiar métodos científicos fidedignos, esta labor requiere un equipo de talentos preparados para respaldar el rápido crecimiento en la medicina regenerativa. Es por eso que CIRM está desarrollando una comunidad diversa de futuros científicos por medio de programas diseñados para introducir a los jóvenes (e incluso a quienes desean cambiar de carrera) a la medicina regenerativa y respaldando sus búsquedas académicas y profesionales en el campo.

## Despertando interés: Programas para la escuela preparatoria

El programa educacional de CIRM comienza con estudiantes de preparatoria, donde CIRM ha posibilitado el plan de estudios para enseñar medicina regenerativa en las escuelas de California. Además, el programa de verano para acelerar el conocimiento de la medicina regenerativa (programa de verano para promover el conocimiento de la medicina regenerativa (Summer Program to Accelerate Regenerative Medicine Knowledge, SPARK)) proporciona a los estudiantes de preparatoria una idea de lo que es la vida en un laboratorio de investigación de células madre. Las prácticas de verano de SPARK exponen a los estudiantes a métodos científicos de primera categoría y les brinda un contexto de la vida real por medio de la labor de alcance a la comunidad y a los pacientes.

Los estudiantes de SPARK reflejan la diversidad de California, incluso aquellos que podrían de otra manera no acceder a un programa como este. La mayoría de los estudiantes de SPARK también están tratando de acceder a una educación superior en California.

## Pasando de la escuela a la carrera:

### Educación y capacitación continuas

CIRM sigue apoyando a estudiantes de gran potencial en la universidad, la escuela de posgrado y los programas de certificación, proporcionando apoyo continuo a fin de preparar a candidatos para trabajos en centros de investigación universitaria y compañías biotecnológicas de California.

La eliminación de la desigualdad inaceptable en la educación y las habilidades laborales es una de nuestras prioridades. Al financiar prácticas pagadas que proporcionan una experiencia decisiva, conexiones profesionales y un sueldo, el programa de otorgamientos “Bridges” (Bridges to Stem Sell Research Awards) de CIRM está nivelando las condiciones para todos los estudiantes y ofreciendo oportunidades para aquellos que se verían en dificultades económicas si participasen en una típica experiencia de trabajo sin sueldo.

El programa “Bridges” se integra al plan de estudios de 16 institutos terciarios y universidades en todo California.

## Programa “Bridges” de CIRM Según los números

1,400 participantes

Formado por un 48% de estudiantes universitarios de primera generación

El 60% está ahora empleado en puestos de investigación y desarrollo

El 30% continúa avanzando en su educación de posgrado





## AYUDANDO A INDICAR EL CAMINO HACIA ADELANTE

“ ‘Bridges’ me dio las herramientas para desempeñarme exitosamente en la industria biotecnológica. El haber estado expuesta al potencial de las células madre despertó mi deseo de ayudar a aprovechar ese poder y cambiar el mundo”.

**Sneha Santosh**

Ex estudiante de “Bridges”

Sneha Santosh oyó hablar por primera vez sobre el programa de práctica de investigación “Bridges to Stem Cell Therapy and Research” cuando se graduó de la Universidad de California, Davis, con un título en biotecnología microbiana, y estaba pensando en obtener una maestría en biotecnología. Ella dijo que la oportunidad de ser parte de un programa que está capacitando a la próxima generación de científicos fue revolucionaria para ella.

Hoy en día, ella es una de las encargadas del cultivo de células en Novo Nordisk, una de las principales empresas mundiales de atención médica en Fremont, California.

Por medio de “Bridges”, Sneha aprendió sobre el poder de las células madre para tratar la causa principal de la enfermedad en vez de solo los síntomas. Ella vio cómo las terapias transformativas cambian la vida de las personas. “Ser parte de la industria biotecnológica era una manera de acercarme más a ese cambio”, dice ella. “Voy a trabajar todos los días sabiendo que me estoy esforzando por descubrir la cura de la diabetes tipo 1”.

Sneha dice que el programa “Bridges” la ayudó a decidirse a emprender una carrera en biotecnología. De hecho, fue crucial.

# Un catalizador para la colaboración científica

## Creando conexiones en California

La colaboración científica entre investigadores, científicos y la industria privada ayuda a generar e implementar ideas novedosas. Con una de las fuerzas de trabajo en medicina regenerativa más altamente capacitadas e instruidas aquí en California, CIRM sirve tanto como identificador de compatibilidad para conectar ideas con recursos humanos y financieros como centro de conocimiento de células madre e información y experiencia en terapia génica, para impulsar más a la ciencia.

La labor de alcance comunitario y el compromiso continuos de CIRM con científicos de células madre en toda California establece conexiones que ayudan a que las organizaciones públicas y privadas del estado encuentren y contraten al “mejor y más brillante” talento presente en el estado. Además, para atraer a los más talentosos en células madre (así como a los colaboradores de la industria privada) al estado, CIRM mantiene una presencia en otros mercados, donde se agrupan aquellos que investigan las células madre y en eventos mundiales que abordan y promueven la ciencia de las células madre.



### Simposio sobre el descubrimiento de medicamentos de Stanford, de 2019

María Millán, presidente y directora ejecutiva de CIRM, fue invitada a participar en este seminario académico sobre el descubrimiento de medicamentos. El panel abordó avances en la investigación y la tecnología para crear y probar nuevos diagnósticos y terapias.



“ Es un honor ser la voz de una comunidad que ansía ser escuchada. Estoy comprometida a representar a todos los californianos, cuyos dólares fiscales posibilitan la investigación para que en un futuro se puedan salvar vidas, y para que ellos también se sientan bien atendidos”.

**Ysabel Durón**  
Defensora de pacientes



# LUCHADORA

*Ella ha luchado toda su vida.*

*Contra la discriminación. Contra la injusticia social. Contra la desigualdad.  
Contra el cáncer*

Durante más de cuatro décadas, Ysabel Durón ha sido una periodista pionera (y ganadora de premios) de la zona de la Bahía de San Francisco que comenzó su carrera en una época en que habían pocas personas latinas en los programas de noticias de la televisión. Entre las historias que cubrió está su propia batalla contra el linfoma de Hodgkin, un cáncer sanguíneo. Su experiencia personal con el cáncer inspiró su segundo acto profesional: ser defensora de la salud para la comunidad latina.

Ysabel fundó Latinas Contra el Cáncer para proporcionar educación, acceso a chequeos y atención de calidad a los más vulnerables en la comunidad latina de California y el Instituto Latino del Cáncer (Latino Cancer Institute), una red nacional de proveedores de servicios de atención del cáncer que impulsa mejores prácticas, programas y normas para eliminar la prevalencia del cáncer en los latinos. Y ahora, ella aporta su espíritu, pasión y compromiso de activista para lograr la igualdad en la salud al Consejo de CIRM.

# La conexión de las células madre ciencia y sociedad

## Simposio

CIRM organiza el simposio de la red de clínicas de células madre “Alpha”, un evento público que se lleva a cabo cada año en un lugar diferente de California. Reuniendo ideas, opiniones y diversos puntos de vista de expertos, pacientes y el público en general, estas conferencias proporcionan un amplio panorama de acontecimientos actuales y futuros, en búsqueda de una terapéutica basada en células madre y aprobada por la FDA.

El simposio de 2019 destacó los esfuerzos de CIRM y de otros para elaborar una cura para la enfermedad de células falciformes, un problema de salud significativo y costoso en California. (Obtenga información adicional sobre la iniciativa para la cura de las células falciformes en la página 22.)

## Foros públicos/redes sociales

La participación pública y un mayor conocimiento de las terapias con células madre es importante tanto para la ciencia como para la sociedad. CIRM involucra al público en la ciencia de células madre usando una amplia gama de foros públicos en comunidades a lo largo del estado, incluyendo desde presentaciones en escuelas preparatorias y charlas de TEDx, hasta eventos en vivo organizados en las redes sociales, tales como: “Pregúntele al equipo de células madre” en Facebook Live.



TEDx en la Escuela Secundaria “Gunn”

La presidente y directora ejecutiva de CIRM, María Millán, habló sobre la medicina del siglo XXI en un evento de TEDx en la Escuela Secundaria Superior “Henry M. Gunn”, en Palo Alto, California. La presentación proporcionó un resumen fácil de entender de las terapias génicas y con células madre.



## Luchando contra las clínicas no reguladas

Por ser expertos en el campo de la terapia génica y con células madre, CIRM también tiene el deber de comunicar efectivamente al pueblo de California los riesgos de usar tratamientos con células madre de efectividad no comprobada y que no han sido verificados ni están regulados o aprobados por la FDA y, en algunos casos, hasta han causado daño.

Las terapias con células madre, como los nuevos medicamentos, requieren de una investigación diligente, ensayos clínicos y aprobaciones regulatorias. CIRM está firmemente comprometida con el avance de la investigación legítima de las células madre y lucha contra los abastecedores rapaces de tratamientos no comprobados y riesgosos.

## Defensores de pacientes

Los defensores de pacientes ayudan a brindar una perspectiva al trabajo de CIRM, permitiéndonos atender mejor las necesidades médicas no cubiertas de los californianos. Estos defensores encabezaron la causa que resultó en la aprobación de la ley que creó el CIRM en 2004 y han seguido trabajando con nosotros diariamente desde entonces.

Una de las características exclusivas de CIRM es que los defensores de pacientes participan en todos los aspectos de la investigación y desarrollo respaldados por nosotros, incluyendo su trabajo junto a los científicos, investigadores y otros expertos en paneles de asesoramiento que guían a todos los beneficiarios de la financiación de CIRM, mientras avanzan por las etapas traslacionales y clínicas de desarrollo.

“ Lo que realmente hace CIRM es concentrarse en los pacientes y brindarles su voz y perspectiva a los investigadores y científicos que pueden proporcionar las terapias seguras y confiables que necesitan”.

**Sneha Santosh**

Investigadora en Novo Nordisk, ex estudiante de “Bridges” y defensora de pacientes

# Respondiendo a las necesidades médicas no cubiertas de California

CIRM respalda investigaciones que tal vez un día proporcionen nuevos tratamientos para la diabetes, el cáncer y las enfermedades cardíacas, así como más de 70 otras enfermedades y lesiones que afectan a millones de californianos. La investigación de enfermedades raras y poco investigadas también es importante para el avance de las ciencias médicas, ya que puede establecer una prueba de concepto, el punto de partida para terapias de otras enfermedades.

En los Estados Unidos, los costos de atención médica de solo seis de los problemas de salud más crónicos es de alrededor de \$1 billón anualmente; en California, el costo es de casi \$100 mil millones cada año. Las terapias para reducir la gravedad o frecuencia de estas enfermedades crónicas pueden mejorar la salud de millones de californianos y reducir los costos de atención médica para las personas, los aseguradores y el estado.

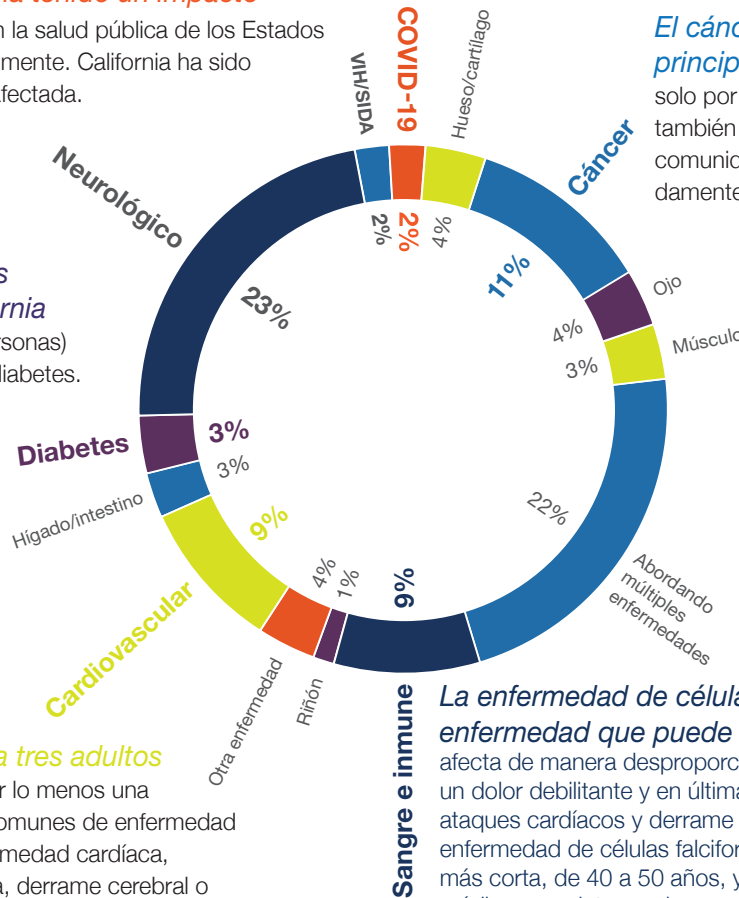
## Porcentaje de las subvenciones totales por enfermedad

*El COVID-19 ha tenido un impacto significativo* en la salud pública de los Estados Unidos y mundialmente. California ha sido particularmente afectada.

*El cáncer es la segunda causa principal* de muerte en California, superada solo por la enfermedad cardíaca. El cáncer también es la principal causa de muerte en la comunidad latina, que representa aproximadamente un 40% de la población.

*La mayoría de los adultos de California* (15.5 millones de personas) tiene prediabetes o diabetes. Entre los estados, California tiene la mayor población con diabetes.

*Casi uno de cada tres adultos* está viviendo con por lo menos una de las formas más comunes de enfermedad cardiovascular: enfermedad cardíaca, insuficiencia cardíaca, derrame cerebral o hipertensión (presión arterial alta).



*La enfermedad de células falciformes es una enfermedad que puede ser mortal o acortar la vida*, afecta de manera desproporcionada a los afroamericanos y causa un dolor debilitante y en última instancia causa insuficiencia renal, ataques cardíacos y derrame cerebral. Las personas con la enfermedad de células falciformes tienen una expectativa de vida más corta, de 40 a 50 años, y tienen menos acceso a una atención médica completa que las personas con otras enfermedades genéticas. CIRM, en colaboración con el Instituto Nacional del Corazón, el Pulmón y la Sangre (National Heart, Lung, and Blood Institute), está financiando enfoques de terapia celular y génica, para curar la enfermedad de células falciformes.





“ Con la ayuda de CIRM, ViaCyte pudo lograr un avance clínico significativo. Continuamos acelerando nuestra misión de proporcionar terapias transformativas para la diabetes que requiere insulina”.

**Paul Laikind**

Presidente y director ejecutivo, ViaCyte

La foto es cortesía de Jamie Scott Lytle Photography



**Ensayo clínico** financiado por CIRM

## Imagine una cápsula

que tiene el largo y el espesor de una tarjeta de negocios, pero solo la mitad de ancho. Dentro de esa cápsula hay células beta (derivadas de las células madre) que, al implantarse bajo la piel, podrán detectar el nivel de glucosa sanguínea. Si está demasiado bajo, las células beta han sido diseñadas para segregar insulina para restaurar la glucosa sanguínea a un nivel saludable.

No es necesario que lo imagine. Es real.

Una compañía de San Diego llamada ViaCyte ha creado esta tecnología con el respaldo de CIRM, y ahora la están probando en personas con diabetes de tipo 1.

Ya se ha demostrado que esta cápsula llena de células, llamada PEC-Direct, es duradera y puede sobrevivir en el organismo. Y lo más importante es que los datos de los ensayos clínicos preliminares indican que un subconjunto de pacientes con diabetes tipo 1, a quienes se les implantó PEC-Direct como parte de un ensayo clínico, pudo producir péptido C humano (un biomarcador de la producción de insulina), algo que no habían podido hacer antes.

El presidente y director ejecutivo de ViaCyte, el Dr. Paul Laikind, dice que cree que este es solo el comienzo.



## Creando acceso: Ensayos clínicos basados en California



Las clínicas de células madre “Alpha”, financiadas por CIRM, son una red de los principales centros médicos de California, a las que se les dio el nombre de “Alpha” porque son las primeras de su tipo y llevan a cabo las investigaciones, las pruebas y los procesos regulatorios de los ensayos clínicos bajo el mismo techo, optimizando y acelerando el proceso de proporcionar terapias con células madre a pacientes.

En la actualidad, se están llevando a cabo más de 70 ensayos a través de cinco clínicas “Alpha” de CIRM en 40 áreas de enfermedad, incluyendo cáncer, lesiones de la médula espinal, diabetes, enfermedad cardíaca, VIH y enfermedades que causan ceguera.

La red de clínicas de células madre “Alpha” proporciona acceso en todo el estado a ensayos clínicos sancionados por la FDA de terapias financiadas por CIRM (y otros) patrocinadas tanto por el ámbito académico como la industria.

## Luchando contra la enfermedad de células falciformes: Para California y el mundo

Aproximadamente 100,000 estadounidenses, la mayoría afroamericanos, sufren de la enfermedad de células falciformes (SCD, por sus siglas en inglés). Es un problema genético que hace que los glóbulos sanguíneos normalmente lisos se vuelvan rígidos y adopten forma de célula falciforme, lo cual bloquea las arterias, causa intenso dolor, daña los órganos y reduce la expectativa de vida. Los actuales tratamientos pueden aliviar el dolor y ayudar a prevenir complicaciones relacionadas con el SDC, pero no hay ninguna cura para la mayoría de las personas.

El CIRM ha iniciado una colaboración única con el Instituto Nacional del Corazón, el Pulmón y la Sangre para desarrollar una cura para el SDC en un período de 10 años, reservando docenas de millones de dólares para respaldar el programa. El CIRM está actualmente financiando una investigación innovadora, que incluye tres ensayos clínicos dirigidos a desarrollar nuevos tratamientos.

Además, la red de clínicas de células madre “Alpha” de CIRM ha sido nombrada un programa central de la red de colaboración en ensayos para la enfermedad de células falciformes de la Sociedad Estadounidense de Hematología (*American Society of Hematology*).

“Se habla mucho sobre la misión de curar el cáncer, pero también debería ser posible lograr una cura para la enfermedad de células falciformes. La enfermedad de células falciformes fue la primera enfermedad genética que se descubrió y, ¿no sería fantástico que también fuera una de las primeras que podemos curar en todos?”

**Dr. Mark Walters**, director, trasplante de sangre y médula ósea, Hospital de Niños “Benioff” de la Universidad de California en San Francisco, Oakland



Ensayo clínico financiado por CIRM



“Estoy dispuesto a hacer lo que sea necesario para ayudar a otros niños. Alguien tiene que hacerlo. No tengo dinero para donar a conferencias científicas y cosas de ese tipo, pero puedo participar en este ensayo”.

**Jordan Janz**

Paciente, en la foto con la investigadora Stephanie Cherqui, Ph.D.

*Cuando vemos a Jordan Janz hoy en día, es difícil imaginar que batalló contra una enfermedad rara. Durante años, le dieron inyecciones diariamente y tomó 56 píldoras solo para mantener su enfermedad bajo control, porque no había cura. Él tiene cistinosis, una mutación genética que, con el tiempo, causa daño a cada una de las células y órganos del cuerpo. Se le pronosticaba una corta vida.*

©2020 Universidad de California, San Diego, Salud

# PIONERO

Hoy en día, Jordan es un pionero en la lucha contra la cistinosis. En 2019, se convirtió en el primer paciente que probó una terapia génica única como parte de un ensayo clínico financiado por CIRM, a través de la Facultad de Medicina de la Universidad de California, San Diego (University of California, San Diego, UCSD), miembro de la red de clínicas de células madre “Alpha” de CIRM.

La terapia, desarrollada después de más de una década de investigación por parte de Stephanie Cherqui, Ph.D. y su equipo en UCSD, toma células madre de la propia sangre del paciente y, en el laboratorio, inserta una versión funcional del gen de cistinosis, sustituyendo el gen mutado. Se le devolvieron las células corregidas a Jordan, con la intención de reducir la acumulación de cristal que le había estado dañando los órganos. Él sabe que no hay ninguna garantía. Aun así, le complace ser un pionero en la lucha contra esta enfermedad debilitante.

## Análisis financiero: Contabilidad de 18 meses, de 2019 a 2020

### Conciliación financiera, 30 de junio de 2020

	1 de enero de 2019	30 de junio de 2020
Saldo comprometido	\$2.6 mil de millones	\$2.7 mil de millones
Saldo no comprometido	\$144 millones	\$45 millones
Saldo bajo administración activa	\$351 millones	\$211 millones
Cantidad de programas bajo administración activa	214	181

### Presupuesto aprobado para 2020-2021 A partir del 30 de junio de 2020

Programa	Asignación
Clínico – Enfermedad de células falciformes	\$28 millones
Clínico	\$17 millones
COVID-19	\$5 millones
Descubrimiento	\$2 millones
Descubrimiento/progresión	\$2 millones
Reunión de beneficiarios	\$250,000
<b>Total</b>	<b>\$54 millones</b>

Todos los números se redondearon hasta el millón más cercano.



# Ganadores del “Game Ball” de CIRM de 2019



## Las personas detrás del desempeño

El mayor recurso de CIRM es su gente. Cada día, nuestra gente se presenta, comprometida a brindar su experiencia para hacer avanzar nuestra misión y acelerar las terapias para pacientes con necesidades médicas no cubiertas.

El equipo es incansable en su deseo de ayudar a otros, ingenioso para encontrar maneras de hacer

más con menos, y está dedicado a trabajar en estrecha colaboración para lograr las metas de la agencia. No es inusual que los miembros del equipo de CIRM vayan más allá de su deber para ayudar a los demás. Otorgamos un premio “Game Ball” a estos miembros de nuestro equipo con el propósito de homenajearlos por hacernos un equipo mejor y más exitoso.



**Kent Fitzgerald**  
Director de descubrimiento y traslación



**María Bonneville**  
Vicepresidenta de administración, directora ejecutiva del consejo directivo de CIRM



**Yimy Villa**  
Gerente de comunicaciones de mercadotecnia



**Lauren Rath**  
Especialista en administración de subvenciones (anterior)



**Gil Sambrano**  
Vicepresidente, desarrollo y revisión de carteras



**Gabe Thompson**  
Director, subvenciones y operaciones (anterior)



**Koley Lambright**  
Asistente administrativa, terapéutica



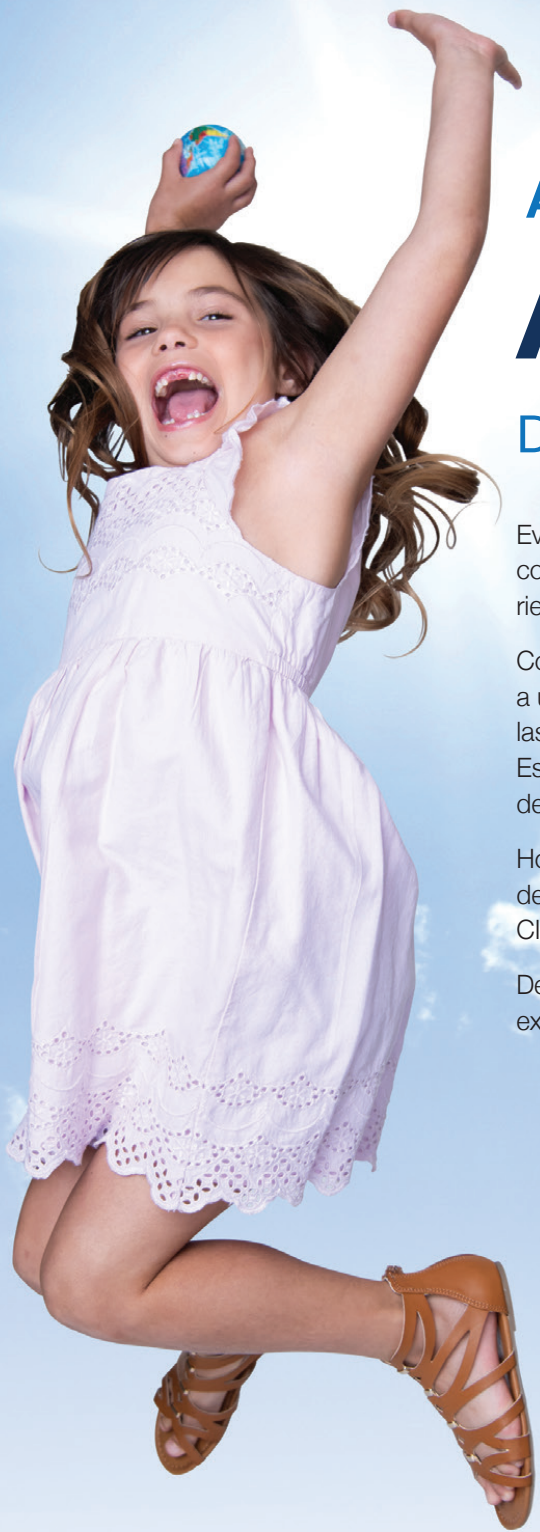
**Ben Huang**  
Director jurídico interino



**Bill Gimbel**  
Director, tecnología de la información



**Denise D'Angel**  
Directora asociada, recursos humanos



Aprendiendo. Creciendo. Viviendo.

# Ahora mismo.

## Definiendo la perseverancia

Evie nació en el Sur de California en 2012, con una inmunodeficiencia combinada grave. Su sistema inmune no funcionaba y esto la exponía al riesgo de sufrir infecciones que podían causarle la muerte.

Como parte de un ensayo clínico financiado por CIRM, ella se sometió a un trasplante de células madre que tomó células madre de su sangre, las reestructuró genéticamente, y las volvió a colocar en su organismo. Estas células madre reestructuradas reconstruyeron el sistema inmune de Evie.

Hoy en día, gracias a la perseverancia de dedicados investigadores, defensores y profesionales médicos, y al constante compromiso de CIRM, Evie está curada.

De ahora en adelante, ella se dedicará a crecer, aprender y disfrutar de explorar y vivir nuevas aventuras con su familia.