

Misión

La misión del CIRM es acelerar la ciencia de clase mundial para brindar tratamientos de medicina regenerativa transformadores de manera equitativa a una California y un mundo diversos.

Hace veinte años, los californianos aprobaron la Proposición 71 para establecer el Instituto de Medicina Regenerativa de California (CIRM), la primera agencia estatal dedicada a promover la investigación y las terapias de células madre de vanguardia.

Este apoyo impulsó la misión del CIRM de brindar terapias transformadoras a los californianos y, al hacerlo, catalizó el campo de la medicina regenerativa en todo el estado.

La aprobación de la Proposición 14 en 2020 renovó los fondos del CIRM por otros \$5.5 mil millones, lo que permitió a la Agencia continuar su importante trabajo para abordar enfermedades con grandes necesidades médicas insatisfechas.

Durante este tiempo, el CIRM ha acelerado el desarrollo de tratamientos innovadores y ha nutrido el ecosistema biotecnológico de California, que abarca hospitales y clínicas, sitios de fabricación y colaboraciones vitales con la industria.

A través de estas iniciativas y programas, el CIRM continúa acelerando el camino desde el descubrimiento científico hasta la atención al paciente.

A medida que el CIRM avanza hacia su tercera década, su promesa permanece: acelerar la medicina regenerativa para el bienestar de todos los californianos.

Contenido

- 02 Cartas de Liderazgo
- 03 Nuestro Impacto
- 04 Cronología de Impacto de 20 Años
- 06 Voces de la Comunidad
- 10 Innovación y Descubrimiento
- 13 Colaboración y Asociación
- 22 Acceso para Pacientes
- 30 Visión para el Futuro
- 33 Actualización del Presupuesto



El Poder de la Medicina Regenerativa

La medicina regenerativa es un campo que avanza rápidamente y utiliza terapias que involucran células madre y edición de genes para mejorar los resultados de los pacientes.

Estos tratamientos innovadores tienen el potencial de curar algunas de las enfermedades y afecciones más molestas del mundo.

Al financiar la mejor medicina regenerativa del mundo, el CIRM continúa impulsando este progreso en el tratamiento de enfermedades como el cáncer, la diabetes, la enfermedad de Parkinson, los trastornos genéticos y más.

Pero no se trata solo de encontrar nuevos tratamientos, se trata de revolucionar la ciencia y la prestación de atención médica.

A través de sus pilares educativos, el CIRM empodera a las mentes más brillantes para que descubran descubrimientos que aborden las causas fundamentales de las enfermedades.

Estos enfoques tienen el potencial de tener un impacto significativo, particularmente para las comunidades que históricamente han enfrentado barreras para acceder a una atención médica de calidad.

El CIRM continuará asociándose con científicos, defensores de pacientes, líderes de la industria y todas las demás partes interesadas para cumplir con nuestra misión.



Fotografías: Centro Broad de Investigación de Células Madre de la UCLA



Estimados conciudadanos de California:



El año 2024 marca el 20 aniversario del CIRM como la agencia de subvenciones emblemática del estado en apoyo de la investigación sobre terapias celulares y genéticas. Este año, el CIRM ha alcanzado un hito significativo al superar la marca de los 100 ensayos clínicos en humanos.

Hemos lanzado iniciativas como el Programa de Apoyo al Paciente (PSP) para ampliar el acceso a ensayos clínicos y tratamientos.

La Junta ha aprobado un plan expansivo para los Centros Comunitarios de Excelencia en Atención (CCCE), que tienen como objetivo ampliar el acceso a los ensayos clínicos y tratamientos regenerativos financiados por el CIRM en toda California.

El CIRM también ampliará la capacidad de nuestra red de colaboración existente de laboratorios de investigación especializados en investigación de células madre.

Este año, presentamos una nueva clase de subvenciones clínicas que avanzarán una terapia hasta el punto en que pueda obtener una licencia comercial y estar disponible para el público.

Entonces, mientras miramos con orgullo lo que hemos logrado en los últimos 20 años, también estamos sentando las bases para la innovación y el éxito continuos.

Atentamente,

Vito Imbasciani, PhD, MD, FACS
Presidente, Comité de Supervisión
de Ciudadanos Independientes (ICOC)

Estimados conciudadanos de California:



A medida que nos acercamos al vigésimo aniversario del CIRM, nos enorgullece reflexionar sobre nuestros muchos logros.

A partir de 2004, cuando el campo de las células madre estaba en pañales, el CIRM ha sido un actor clave, permitiendo la investigación de primer nivel en la búsqueda del desarrollo de terapias y curas. Hasta la fecha, el CIRM ha otorgado más de \$3.86 mil millones en más de 1400 subvenciones en investigación básica, investigación traslacional y ensayos clínicos. Este trabajo ha culminado en un hito importante en el CIRM: la financiación de 108 ensayos clínicos al cierre del año fiscal 2023-2024.

Nuestra financiación ha fortalecido el ecosistema biotecnológico de California, que abarca Alpha Clinics e instalaciones de fabricación. Las asociaciones industriales del CIRM continúan creciendo y nuestras oportunidades de educación y capacitación están preparando a los científicos del mañana. Es importante destacar que todos nuestros programas se basan en los principios de diversidad, equidad e inclusión.

En los últimos meses, la demanda de fondos del CIRM ha crecido en órdenes de magnitud. El aumento de la demanda, junto con el hecho de que nos quedan \$3.8 mil millones para desplegar, de los cuales \$1.1 mil millones deben destinarse a la investigación de trastornos neurológicos según la Proposición 14, nos ha llevado a emprender una serie de iniciativas que establecerán la agenda del CIRM para el próximos años.

Atentamente,

Jonathan Thomas, PhD, JD
Presidente y CEO

El impacto del CIRM es evidente a través de sus importantes contribuciones al avance de la medicina regenerativa. Las siguientes métricas destacan los logros de la Agencia en el apoyo a las instalaciones médicas, la aceleración del desarrollo de terapias y la inversión en investigación.

9 Alpha Clinics

El CIRM ahora apoya nueve instalaciones médicas con personal experimentado en ensayos clínicos de vanguardia que utilizan terapias de medicina regenerativa

12 designaciones RMAT

Estos proyectos financiados por el CIRM han sido reconocidos por la FDA como Terapias Avanzadas de Medicina Regenerativa, una designación otorgada para acelerar el desarrollo y la aprobación de la FDA.

\$24+ mil millones en inversiones de la industria

Esta importante inversión en investigación financiada por el CIRM proviene de empresas de biotecnología y farmacéuticas, así como de otros socios de la industria.

438 reuniones de asesoramiento para el desarrollo de terapias

Estos paneles asesores clínicos y traslacionales han ayudado a los investigadores financiados por el CIRM a acelerar el desarrollo de sus terapias y anticipar desafíos futuros.

50+ nuevas empresas

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

85+ enfermedades/afecciones

Los fondos del CIRM ayudaron a avanzar en proyectos de investigación para abordar una amplia gama de problemas de salud, desde artritis hasta la enfermedad de Alzheimer, cáncer, enfermedades raras en niños, enfermedades cardíacas y accidentes cerebrovasculares.

108 ensayos clínicos financiados por el CIRM

Al dirigir el apoyo a 108 ensayos clínicos, el CIRM juega un papel crucial en el avance de su misión de brindar terapias innovadoras de células madre y genes a los pacientes.

250+ ensayos clínicos realizados en Alpha Clinics

Número de ensayos clínicos para investigación financiada por el CIRM, así como para otras investigaciones.

4,300+ participantes en ensayos clínicos

Número de pioneros que han dado su consentimiento para formar parte de un ensayo clínico financiado por el CIRM.

4,317 pasantes y becarios

Número de estudiantes de secundaria y universitarios, candidatos postdoctorales y becarios clínicos involucrados en programas de educación y capacitación apoyados por el CIRM.

Acelerando descubrimientos innovadores durante dos décadas

2004

El comienzo

La Ley de Investigación y Curas de Células Madre de California, conocida como Proposición 71, es aprobada por los votantes de California, estableciendo el CIRM y autorizando \$3 mil millones para la investigación de células madre y el desarrollo de terapias en California.



2006

Primer Plan Estratégico

La Junta del CIRM desarrolla su primer plan estratégico científico para ayudar a guiar el desembolso de fondos durante un período de diez años.

2009

Pasantías Bridges para estudiantes universitarios

El CIRM lanza el Programa Bridges, que ofrece pasantías de investigación pagadas a estudiantes de universidades y colegios sin programas de investigación intensivos en células madre.

2015

Se crea la red Alpha Clinics

La Junta del CIRM aprueba un plan de \$70 millones para desarrollar Alpha Clinics innovadoras en todo el estado para apoyar y acelerar los ensayos clínicos de células madre.

2015

CIRM 2.0 presentado

Bajo el liderazgo del entonces presidente C. Randal Mills, PhD, el CIRM lanza CIRM 2.0, un plan estratégico que transforma su modelo de financiación para agilizar y acelerar el avance de la investigación de células madre.

2019

Encontrar tratamientos para la enfermedad de células falciformes

El CIRM y el Instituto Nacional del Corazón, los Pulmones y la Sangre (NHLBI) crean un acuerdo histórico para encontrar tratamientos para la enfermedad de células falciformes.



2024

Más de 100 ensayos clínicos

La Junta aprueba cinco nuevos ensayos clínicos para la enfermedad de Parkinson, afecciones autoinmunes, cánceres y otras afecciones, lo que eleva los premios clínicos del CIRM a más de 100.



2005

El CIRM anuncia la primera solicitud de aplicación

La Junta del CIRM aprueba la primera Solicitud de Aplicación (RFA) de la Agencia, un programa de capacitación para universidades de California e instituciones académicas y de investigación sin fines de lucro.

2008

Instalaciones principales financiadas

Un Programa de Subvenciones para Instalaciones Principales del CIRM financia el establecimiento de instalaciones de construcción en todo el estado para apoyar la investigación de células madre.



2012

Premios a la creatividad de la escuela secundaria

El CIRM lanza el Programa de Premios a la Creatividad para brindar pasantías a estudiantes de secundaria. Este programa luego se renombra como Programa de Verano para Acelerar el Conocimiento de la Medicina Regenerativa (SPARK).

2014

Cura de células madre para la enfermedad del "bebé burbuja" (SCID)

Un equipo de investigación de UCLA dirigido por Donald Kohn, MD, anuncia una terapia genética innovadora y una cura de células madre para la enfermedad del "bebé burbuja" o inmunodeficiencia combinada grave (SCID).



2018

50° ensayo clínico

La Junta aprueba el 50° ensayo clínico del CIRM relacionado con los efectos secundarios tóxicos de la quimioterapia.

2020

Sí a la Proposición 14

Los votantes de California aprueban la Iniciativa de Investigación, Tratamientos y Curas de Células Madre de California, también conocida como Proposición 14, que proporciona \$5.5 mil millones en fondos renovados al CIRM.

2021

Comienza el Grupo de Trabajo de Accesibilidad y Asequibilidad

La Junta aprueba un nuevo plan estratégico para 2022-2027 y comienza su primera reunión del Grupo de Trabajo de Accesibilidad y Asequibilidad (AAWG) para evaluar estrategias para que las terapias financiadas por el CIRM sean accesibles para todos los californianos.

2023

Lanzamiento del grupo de trabajo de neurociencia del CIRM

El grupo de trabajo de neurociencia del CIRM se lanza como parte del mandato de la Proposición 14 de asignar \$1.5 mil millones a la investigación y el desarrollo de terapias para trastornos neurológicos.

2023

Programa ReMIND aprobado

La Junta aprueba un nuevo plan para invertir \$110 millones en investigación básica en enfermedades neuropsiquiátricas, una de las mayores inversiones de este tipo en California.

2023

Premios de la red de fabricación

El CIRM establece una nueva red de fabricación en sus nueve sitios de Alpha Clinics para reducir los cuellos de botella y acelerar las vías hacia la comercialización de terapias celulares y genéticas.

Fotografías: Sarah White / SDSU, Jaquell Chandler

El progreso en el CIRM ha sido posible gracias a la dedicación de pacientes, investigadores, miembros de la Junta y partes interesadas que han seguido apoyando su misión a lo largo de los años. Escuche de ellos, en sus propias palabras, sobre el papel fundamental del CIRM en el avance de la medicina regenerativa.



Jennifer Doudna, PhD, PhD, Premio Nobel de Química, Profesora de Bioquímica en UC Berkeley y Fundadora del Innovative Genomics Institute

El CIRM ha revolucionado la medicina regenerativa al financiar cientos de proyectos y apoyar ensayos clínicos clave, avanzando significativamente en el desarrollo de nuevos tratamientos para enfermedades como el cáncer, la diabetes y los trastornos neurodegenerativos.

La contribución más significativa del CIRM es la creación de una infraestructura sólida para la investigación de células madre en California, que ha acelerado la transición de la investigación fundamental innovadora del laboratorio a las aplicaciones clínicas, beneficiando a pacientes en todo el mundo. El futuro de la medicina regenerativa encierra la promesa de terapias personalizadas y posibles curas para afecciones que antes eran incurables.

George Daley, MD, PhD, Decano de la Facultad de Medicina de la Facultad de Medicina de Harvard



El CIRM ha catapultado a la comunidad de células madre de California a un lugar destacado a nivel internacional. Numerosos científicos con sede en California son ahora líderes importantes en el campo de la biología de células madre, debido en gran parte a la disponibilidad de fondos flexibles del CIRM para proyectos que no serían o no podrían ser financiados por subvenciones federales. Ahora estamos viendo datos positivos que surgen para las terapias de células madre y genes para la leucemia, la diabetes, la ceguera y las enfermedades neurológicas como resultado de décadas de inversión de pacientes en nuevas tecnologías. No se puede exagerar la importancia que ha jugado el CIRM en la revolución de las células madre.

Don C. Reed, Campeón de células madre y defensor de pacientes



Construido a partir de una iniciativa ciudadana, la Proposición 71, el CIRM expresa la voluntad de California: que la medicina regenerativa debe combatir las enfermedades crónicas y la discapacidad. Una alegre victoria fue sobre la inmunodeficiencia combinada grave. Gracias a esta terapia financiada por el CIRM, 50 niños ahora han sobrevivido a la enfermedad. Gracias a las células madre, los hombres y mujeres jóvenes han recuperado la fuerza y el control de la parte superior del cuerpo, mejorando sus vidas. Las terapias desarrolladas por el CIRM continuarán beneficiando a los pacientes en las generaciones venideras. ¡Qué tremenda bendición, 20 años de esfuerzo!



Ysabel Duron, Miembro de la Junta del CIRM, Fundadora/ directora ejecutiva del Instituto Latino del Cáncer y Defensora de Pacientes

Los contribuyentes de California deben sentirse orgullosos de los esfuerzos y logros del CIRM. Los líderes de la iniciativa hace 20 años fueron lo suficientemente audaces como para asumir esta pesada tarea, cuando el gobierno federal dio un paso atrás. El CIRM no solo se movió para diversificar el campo, sino que dio un paso significativo para asegurarse de que las comunidades diversas se incluyeran en la investigación y cosecharan los beneficios de los nuevos hallazgos y ensayos clínicos. El CIRM está a la vanguardia para garantizar que la medicina regenerativa brinde igualdad de condiciones para que todas las comunidades puedan pasar de la esperanza a la oportunidad de cosechar las recompensas de estos descubrimientos científicos.



Robert Klein, Autor de la iniciativa, presidente de la campaña, presidente fundador del CIRM

El 2 de noviembre de 2004, los votantes de California, con casi un 60% de aprobación, lanzaron una nueva visión para financiar investigaciones científicas y ensayos clínicos innovadores, para generar terapias con células madre, en una amplia gama de enfermedades crónicas. El editorial principal del New York Times, al día siguiente, encabezó con el título: "California al rescate". La financiación de California de \$3 mil millones para terapias con células madre rompió la barrera religiosa que paralizaba la financiación del gobierno federal y desafió a países extranjeros, estados y universidades, a nivel mundial, a unirse a la Revolución Médica de Células Madre. El Instituto de Medicina Regenerativa de California, CIRM, ha liderado esta revolución, con pruebas de concepto de terapias de Fase II de la FDA, restaurando la vista de pacientes con degeneración macular, liberando a los pacientes de la insulina, para la diabetes tipo 1, proporcionando evidencia inicial de que los epilépticos pueden estar libres de convulsiones y contribuyendo con múltiples avances en la terapia contra el cáncer, como resultado de colaboraciones nacionales e internacionales y el progreso basado en su investigación financiada y ensayos en humanos. Ahora, con la aprobación de \$5.5 mil millones de los votantes de California en 2020, el CIRM, con un personal extraordinario y dedicado y los increíbles científicos de California, en colaboraciones en todo nuestro país y el mundo, está impulsando la Revolución de las Células Madre, integrada con terapias genéticas, hacia la visión de California de reducir el futuro del sufrimiento humano, en recuperaciones de enfermedades crónicas, con terapias que restauran la calidad de vida de los niños, de cada familia, de cada ciudadano de nuestro gran estado y de la comunidad global. Demos gracias, en celebración, por los votantes de California.

Rich Lajara, Miembro de la Junta del CIRM, participante de un ensayo clínico, defensor de pacientes con lesión de la médula espinal (LME)

El CIRM ha hecho muchas contribuciones al campo de la ciencia en los últimos 20 años. Lo que más destaca es el impacto en los miles de pacientes inscritos en ensayos clínicos financiados por el CIRM durante este tiempo. Debido a que participé como paciente n.º 1 en un ensayo del CIRM, sé lo desinteresado que es exponerse a lo que parece ser lo desconocido. Los datos recopilados de cada individuo no tienen precio y son imprescindibles para avanzar en el campo de la medicina regenerativa. Son mis verdaderos héroes por ayudar a allanar el camino para las curas para las generaciones futuras. El futuro de la medicina regenerativa debe ser asequible y rentable. El CIRM tiene un papel específico para ayudar a garantizar que el futuro de los posibles tratamientos siga siendo rentable y alcanzable.



Adrienne Shapiro, Defensora de pacientes y cofundadora de Axis Advocacy

En 2020, abogamos por más fondos del CIRM. Sabía lo que significaba y cómo el CIRM cambiaría el mundo. Mi sueño se ha hecho realidad porque el CIRM ha sido el catalizador para salvar a tantas familias de generaciones de dolor y sufrimiento, no solo por la enfermedad de células falciformes, sino también por muchas otras enfermedades conocidas y desconocidas. Han pasado poco más de 20 años desde que Bob Klein y otros identificaron esta necesidad y comenzaron esta revolución en California. No puedo esperar a ver qué sucede en los próximos 20 años.



Sandra Dillon, Participante de un ensayo clínico, previamente diagnosticada con mielofibrosis

Uno de los roles esenciales que ha desempeñado el CIRM fue llevar la investigación del laboratorio a los pacientes más rápidamente y empoderar a los médicos para que traten a los pacientes a través de ensayos clínicos. Entré en un ensayo y en unos pocos meses me cambió la vida. El CIRM me encontró donde estaba al financiar un ensayo que me dio un futuro que el cáncer me habría quitado. Como paciente, no puedo expresar mi gratitud lo suficientemente profundo.



Heidi Edwards, Presidenta y fundadora de Sisters Hope Foundation

El trabajo y la dedicación del CIRM han llevado a investigaciones, descubrimientos y curas innovadoras para aquellos diagnosticados con enfermedades devastadoras como la leucoencefalopatía de inicio en la edad adulta (ALSP). Gracias al CIRM por mucho más que solo apoyo financiero. Gracias por su impulso, dedicación y pasión durante los últimos 20 años. Sin personas increíbles como ustedes, mi familia tal vez nunca hubiera visto un futuro de ESPERANZA y una vida sin la devastación de ALS.



Prosperando después de una terapia de células madre financiada por el CIRM

Se esperaba que Evangelina viviera su vida sin poder luchar contra la más mínima infección, como suelen vivir los niños con ADA-SCID.

ADA-SCID (Deficiencia de Adenosina Desaminasa - Inmunodeficiencia Combinada Grave) es un trastorno inmunitario genético hereditario poco común que impide que el cuerpo descomponga las toxinas. Los enfoques de tratamiento tradicionales utilizan la terapia con enzimas ADA o donaciones de médula ósea sana de un hermano, que pueden ser riesgosas y no siempre son efectivas. La esperanza de vida de los niños con ADA-SCID era de menos de dos años. Pero un enfoque de tratamiento financiado por el CIRM del Dr. Donald Kohn en UCLA le dio a Evangelina una nueva oportunidad de vida en 2012.

El Dr. Kohn extrajo las células madre formadoras de sangre de Evangelina de su médula ósea y agregó una copia normal del gen ADA en el laboratorio. A partir de ahí, las células modificadas se reintrodujeron en su cuerpo, restaurando finalmente su sistema inmunitario.

Ahora Evangelina tiene 12 años. Ella y su hermana, Anabella, son tenistas competitivas en el sur de California. Cuando se le preguntó acerca de sus chequeos de rutina y extracciones de sangre, dijo: "Solía llorar mucho, pero mi mamá me dijo que lo estaba haciendo para ayudar y ahora es divertido. Sé que estoy ayudando a otros niños."



Normalmente no me preocupo por los puntos que gano o pierdo. Simplemente sigo la corriente.

– **Evangelina,** Participante del ensayo clínico

Convirtiendo la promesa de la medicina regenerativa en realidad

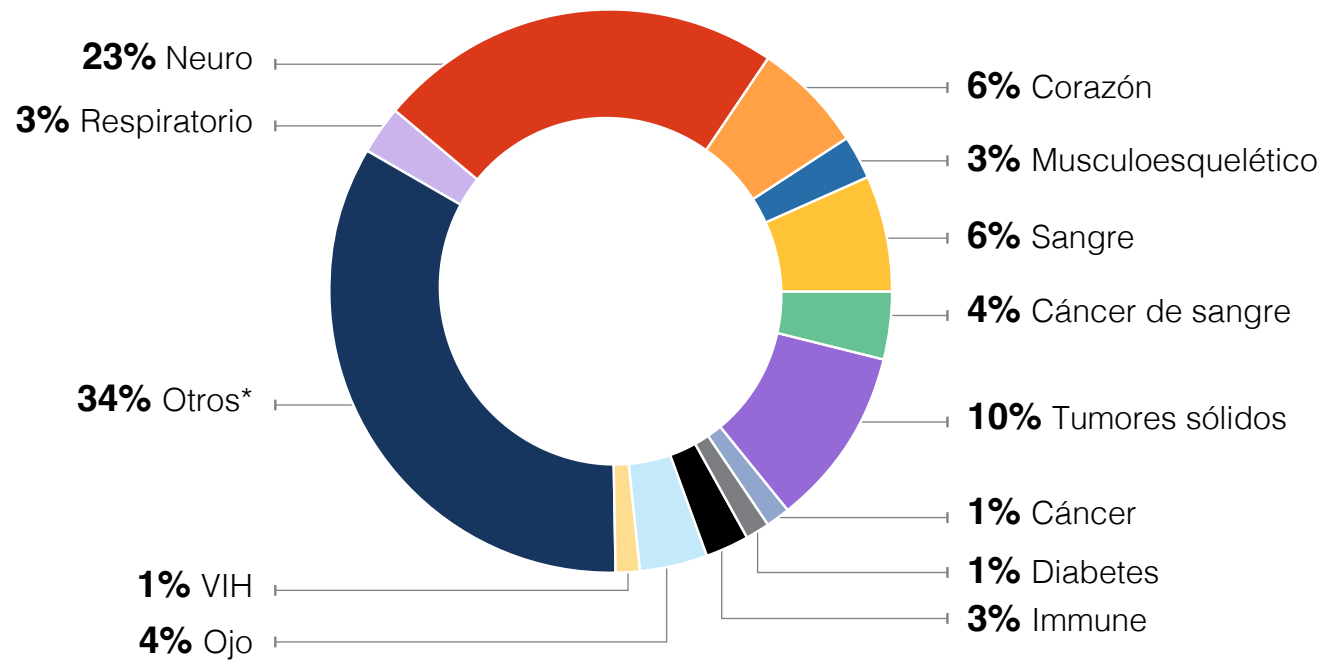
Los principios rectores del CIRM durante los últimos 20 años han sido la innovación y el descubrimiento. La evidencia más reciente de esto es el nuevo programa de financiación CLIN4, que apoya proyectos de desarrollo en etapa tardía al brindar asesoramiento experto y acelerar los resultados a lo largo de las etapas clave de la vía de desarrollo del producto.

Este compromiso de avanzar en la investigación de vanguardia ha permitido al CIRM desempeñar un papel fundamental en descubrimientos innovadores. El CIRM ha demostrado que el desarrollo de terapias regenerativas a tal escala requiere avances tecnológicos y una visión estratégica.

En esta sección, aprenderá más sobre cómo el CIRM está convirtiendo la promesa de la medicina regenerativa en realidad a través de programas e iniciativas con visión de futuro.

Cartera de investigación financiada por el CIRM por área de enfermedad

Año fiscal 2023-2024



Los porcentajes se normalizan al número total de premios de investigación aprobados durante el año fiscal 2023-2024. La investigación incluye premios de investigación de descubrimiento, traslacional y clínica.

Los porcentajes se redondean al número entero más cercano.

*Otros incluyen: fertilidad, vejiga y biología general de células madre.



Trazando el camino en neurociencia

El Grupo de Trabajo del CIRM sobre Neurociencia y Medicina se creó para dirigir el compromiso de \$1.5 mil millones con el desarrollo neurocientífico según lo establecido en la Proposición 14.

Con el objetivo colectivo de desarrollar nuevos tratamientos para los trastornos neurológicos, el Grupo de Trabajo busca identificar oportunidades de alto impacto en enfermedades neuropsiquiátricas, enfermedades neurodegenerativas y neurolesiones.

Abriendo camino a descubrimientos innovadores

Los trastornos neuropsiquiátricos imponen una tremenda carga a los pacientes, cuidadores y la sociedad, y representan algunas de las necesidades médicas más urgentes e insatisfechas en California.

Este año, el CIRM lanzó una nueva iniciativa, llamada ReMIND (Investigación que utiliza enfoques multidisciplinarios e innovadores en enfermedades neurológicas), que fue diseñada para acelerar descubrimientos innovadores en nuestra comprensión de los trastornos del sistema nervioso central (SNC), que incluyen enfermedades del cerebro y la médula espinal. Para lograr esto, el Programa ReMIND catalizará colaboraciones innovadoras

e interdisciplinarias y apoyará el intercambio amplio de conocimientos entre los científicos investigadores y otras partes interesadas.

El programa incluye dos oportunidades de financiación distintas que aceleran la investigación a nivel de descubrimiento en enfermedades neuropsiquiátricas y del neurodesarrollo: ReMIND-L, que apoya grandes proyectos multidisciplinarios colaborativos, y ReMIND-X, que apoya proyectos exploratorios de alto riesgo y alta recompensa.

El programa financiará la investigación en organizaciones académicas, sin fines de lucro y con fines de lucro en California.



Fotografías: Jim Block cortesía de QB3

Las caras de la innovación



Elizabeth Crouch, MD, PhD, Profesora Asistente, Departamento de Pediatría de la UCSF y Centro Eli y Edythe Broad de Medicina Regenerativa e Investigación de Células Madre, neonatóloga, científica médica, neurocientífica y bióloga vascular, recibió una subvención para explorar cómo las células vasculares se desarrollan y funcionan en el cerebro. Actualmente no existen terapias para las enfermedades vasculares del cerebro que afectan a más de 12 000 bebés por año en los EE. UU.



Julia Kaye, PhD, de los Institutos Gladstone, recibió un premio para estudiar un modelo celular de ELA esporádica (esclerosis lateral amiotrófica, también conocida como enfermedad de Lou Gehrig), una enfermedad del sistema nervioso que daña el cerebro y la médula espinal. El proyecto probará la capacidad de las moléculas pequeñas para contrarrestar los síntomas de la ELA e incluirá el desarrollo de tecnologías de aprendizaje automático para detectar la degeneración nerviosa en sus primeras etapas. Estos avances podrían mejorar significativamente la investigación y el tratamiento de la ELA.



Carrie Miceli, PhD, Profesora en el Departamento de Microbiología, Inmunología y Genética Molecular de UCLA, recibió un premio del CIRM para estudiar la dinámica de las células satélite musculares humanas, las miofibras y las células inmunitarias en la distrofia muscular (DM), y probar la respuesta de las células a una terapia génica experimental. El equipo tendrá acceso a muestras de pacientes con distrofia muscular de Duchenne que participaron en un ensayo clínico. La información obtenida de esta investigación podría mejorar la comprensión y el tratamiento de la DM.



Michael Wilson, MD, Profesor de Neurología en el Instituto de Neurociencias Weill de la UCSF, y sus colegas recibieron un premio del CIRM por un enfoque ambicioso y potencialmente salvador para el tratamiento de la leucoencefalopatía multifocal progresiva (LMP) que daña las células nerviosas del cerebro. La LMP es más común en personas con VIH-1, pero también afecta a personas con cáncer, inmunidad disminuida y afecciones autoinmunes como esclerosis múltiple, artritis reumatoide y lupus. Si tiene éxito, la terapia podría revolucionar los enfoques de tratamiento actuales.

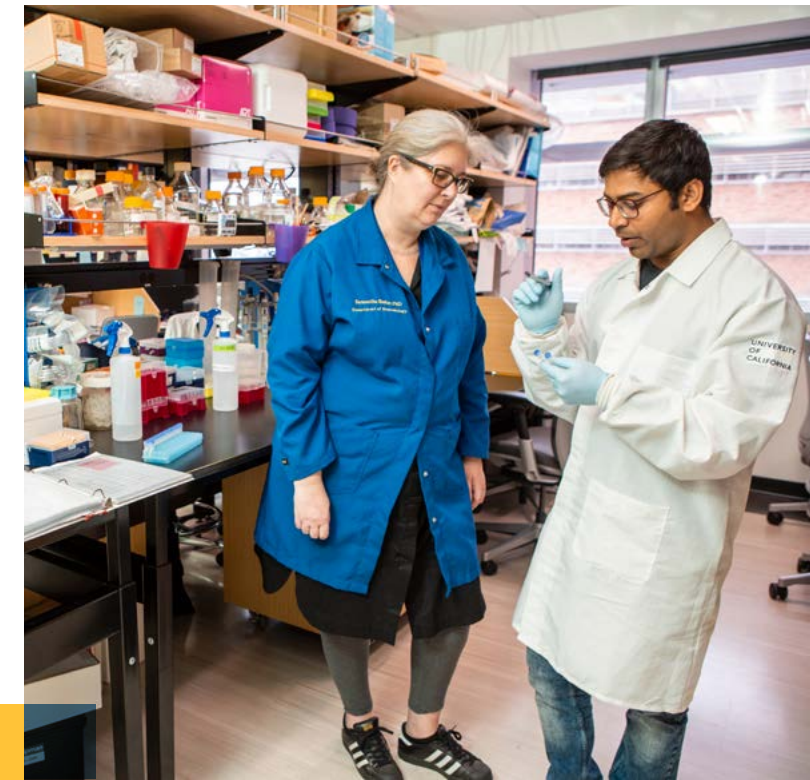


Ana Moreno, PhD, Fundadora y directora ejecutiva de Navega Therapeutics, recibió una subvención del CIRM para optimizar una terapia génica para la eritromelalgia hereditaria (IEM), un trastorno de dolor raro y debilitante. El apoyo temprano del CIRM ha avanzado el proyecto a etapas de desarrollo adicionales. Un resultado exitoso podría impulsar significativamente la plataforma epigenética de Navega, que es prometedora para tratar una variedad de afecciones más allá de la IEM. Actualmente, no existen terapias aprobadas por la FDA para este trastorno.

Las asociaciones y colaboraciones lideran el camino

La integración de terapias celulares y génicas de vanguardia en la práctica clínica requiere una colaboración significativa entre investigadores, médicos, enfermeras, pacientes, defensores y socios de la industria. Desde su inicio, el CIRM ha establecido sólidas asociaciones con esta diversa gama de partes interesadas, reconociendo que el progreso se logra mejor a través de esfuerzos combinados.

Al unir estas perspectivas y fomentar el intercambio de información y las diversas perspectivas, el CIRM continuará avanzando en los avances de la medicina regenerativa.



Fotografías de esta página: Centro Broad de Investigación de Células Madre de la UCLA

Asociación para el progreso: avance de la medicina regenerativa a través de la capacitación de enfermeras

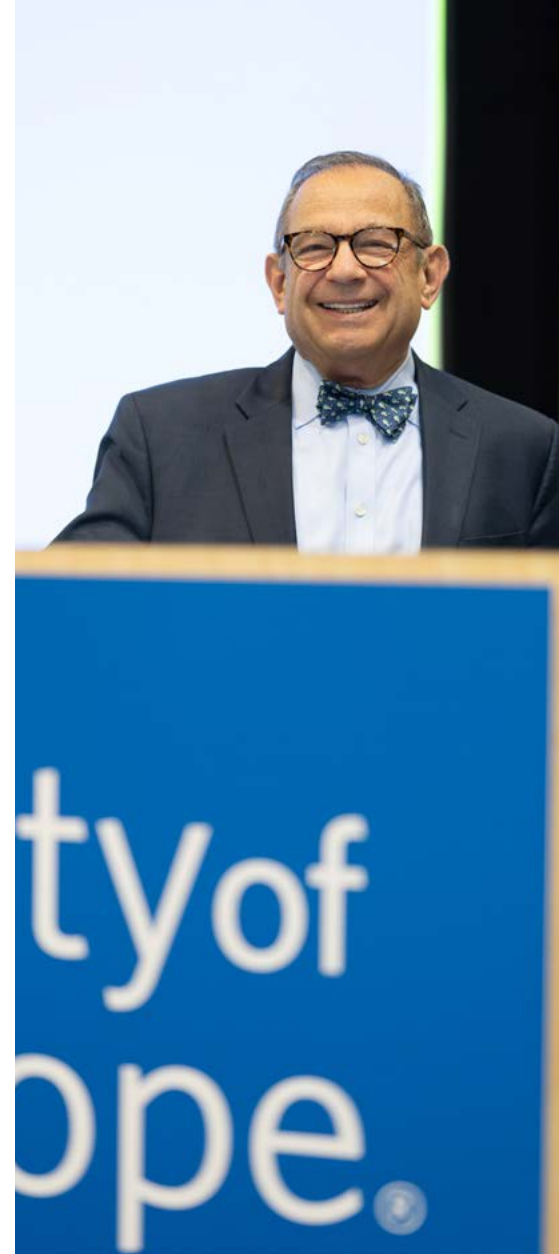
A medida que las terapias regenerativas llegan a la comercialización, existe una necesidad apremiante de equipar a las enfermeras con más habilidades.

Las enfermeras desempeñan un papel fundamental en la adopción exitosa de medicamentos regenerativos en muchos entornos: clínico, de pacientes, educativo, comunitario, profesional y hospitalario.

En reconocimiento de esto, el CIRM se asoció recientemente con City of Hope y Alpha Clinics Network para organizar el Simposio de capacitación de enfermeras en medicina regenerativa.

Al llamar a las enfermeras “pioneras en el umbral de una nueva era”, el presidente de la Junta del CIRM, Vito Imbasciani, PhD, MD, destacó la importancia de las asociaciones futuras con las enfermeras para acelerar la entrega de medicina regenerativa en un discurso de apertura.

El CIRM escucha activamente a las enfermeras mientras prestan sus voces a estos esfuerzos, reconociendo su papel esencial en este viaje.



Todas las fotografías de esta página: Sean Richard

Apoyo a la colaboración en biociencia

El CIRM participó con orgullo y patrocinó la reciente Conferencia de la Cumbre de los Ecosistemas de Biociencia de Los Ángeles Twenty 24 (LABEST), el principal escaparate de la innovación en biociencia en Los Ángeles.

Esta conferencia es uno de los muchos eventos que apoya el CIRM para promover avances en el campo de la biociencia.

Los principales programas de investigación y nuevas empresas se exhibieron a lo largo del evento para destacar la experiencia y la investigación pionera.

El evento sirvió como una gran oportunidad para que el CIRM destacara su impacto en la biociencia en el área metropolitana de Los Ángeles y en todo California.

En la conferencia, el CIRM se conectó con un grupo diverso de partes interesadas, desde investigadores pioneros en terapias celulares hasta empresarios que convierten los conocimientos científicos en innovaciones terapéuticas.

Varios miembros del equipo de liderazgo del CIRM, incluidos Abla Creasey, PhD,

vicepresidenta de desarrollo terapéutico, y Shyam Patel, PhD, director principal de desarrollo comercial, moderaron paneles.

El presidente del CIRM, Jonathan Thomas, PhD, JD, presentó un discurso de apertura, enfatizando el papel de la Agencia en impulsar la innovación y su apoyo a la investigación en toda el área metropolitana de Los Ángeles.

“El CIRM es una de las asociaciones público-privadas más grandes del mundo.



El CIRM es una de las asociaciones público-privadas más grandes del mundo. Hemos ayudado a que California se convierta en un actor importante en el campo de la investigación de terapia celular y genética”

– Presidente del CIRM, Jonathan Thomas, PhD, JD, en LABEST 24

Empoderar el ecosistema de investigación de California

Como parte del compromiso del CIRM de superar los obstáculos en la medicina regenerativa, la Agencia ha creado una oportunidad de financiación de \$50 millones para establecer los Laboratorios de Recursos Compartidos (SRL), una red de 11 laboratorios centrales sin fines de lucro en todo California que apoyan el uso de células madre, modelos basados en acelerar la investigación y el desarrollo terapéutico.

Los SRL se encuentran dentro del programa de infraestructura del CIRM, que fue creado para abordar los desafíos al progreso; en este caso, el acceso amplio a modelos basados en células madre por parte de investigadores de diversas disciplinas y antecedentes. Aunque no hay escasez de laboratorios de California y comunidades de investigación interesadas en obtener competencia en modelos basados en células madre, muchos carecen de acceso

local a laboratorios, infraestructura relevante y capacitación adecuada.

La creación de SRL cumple con la estipulación de la Proposición 14 de restablecer una oportunidad única de “Laboratorios compartidos” que comenzó por primera vez bajo la Proposición 71 para promover el estado como líder en el espacio de la medicina regenerativa. Este programa también sirve a los objetivos del plan estratégico del CIRM de promover la colaboración, el intercambio de conocimientos y el acceso democratizado a la tecnología, la educación y la capacitación.

Los SRL son parte de varios centros de competencia tecnológica planificados diseñados para conectar y empoderar ampliamente el ecosistema de investigación de medicina regenerativa de California.

Fomento de asociaciones público-privadas innovadoras

Industry Resource Partners (IRP) del CIRM es un programa que facilita la colaboración entre organizaciones de la industria y adjudicatarios del CIRM para estimular la innovación y acelerar el desarrollo de nuevas terapias. Los socios de recursos de la industria se comprometen a compartir conocimientos y hacer que sus productos, servicios o recursos únicos sean fácilmente accesibles para los adjudicatarios del CIRM. Actualmente, los socios de recursos de la industria inscritos brindan acceso a servicios de fabricación, pruebas preclínicas y líneas de células madre de grado clínico para acelerar el desarrollo de terapias financiadas por el CIRM. A través de la colaboración y el intercambio de conocimientos, el IRP avanza en la medicina regenerativa, fortalece el campo y acelera la entrega de terapias transformadoras a quienes las necesitan.



Fotografía: National Resilience, Inc.

Inversión de la industria: un punto de referencia del éxito

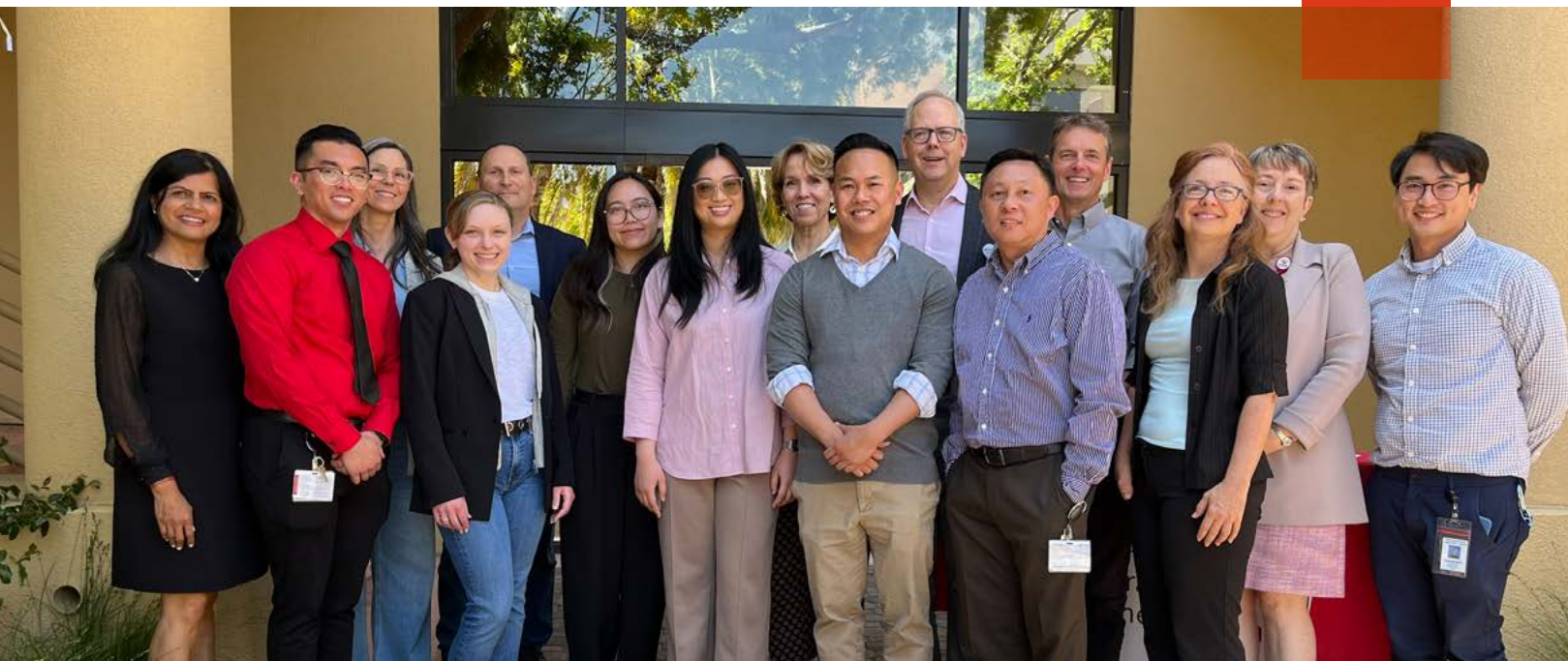
A pesar de las incertidumbres de financiación y las difíciles condiciones del mercado, los proyectos financiados por el CIRM continúan atrayendo importantes inversiones y asociaciones de la industria, con \$24.4 mil millones en financiación de seguimiento hasta la fecha. Esta financiación ha adoptado muchas formas, incluidas la coinversión, el aumento de capital, las ofertas públicas iniciales y las adquisiciones.

Uno de los ejemplos más prometedores de inversión de la industria se produjo en 2024.

Neurona Therapeutics recaudó con éxito \$120 millones para avanzar en NRTX-1001, una terapia celular innovadora para la epilepsia del lóbulo temporal mesial (MTLE) resistente a los medicamentos, que fue respaldada por una subvención del CIRM de \$8 millones. La empresa de bioterapéuticos en etapa clínica también recibió la designación de Terapia Avanzada de Medicina Regenerativa (RMAT) de la FDA que acelera el desarrollo y la revisión de las terapias de medicina regenerativa.



Fotografía: Kellie Brown / Cal Poly Humboldt



Red de Fabricación de Terapia Celular y Genética de California

Con premios iniciales de casi \$18 millones, el CIRM anunció el establecimiento de la Red de Fabricación de Terapia Celular y Genética de California, una iniciativa diseñada para superar los cuellos de botella de fabricación en el desarrollo y la comercialización de terapias basadas en genes y células madre.

La Fase 1 tiene como objetivo mejorar la calidad y las operaciones en las nueve instalaciones de fabricación GMP sin fines de lucro que son cruciales para producir terapias genéticas y de células madre para ensayos clínicos en etapa temprana. Esta fase también fomenta la colaboración entre estas instalaciones a través del intercambio de conocimientos sobre temas técnicos, operativos y de fuerza laboral. Esta



coordinación establecerá las mejores prácticas en fabricación, control de calidad y desarrollo de la fuerza laboral.

Además, la Fase 1 desarrolla o amplía programas de capacitación para crear una fuerza laboral de fabricación calificada y diversa para satisfacer la demanda de la industria. Varios adjudicatarios han lanzado programas de certificación GMP e inscrito cohortes de aprendices iniciales con fondos de la Fase 1.

La Fase 2 de la iniciativa de dos partes financiará asociaciones colaborativas académicas y de la industria para escalar operaciones y mejorar el desarrollo de la fuerza laboral para ayudar a acelerar la comercialización de terapias.

Fotografías: El Laboratorio de Medicina Celular y Genética de Stanford (LCGM), City of Hope

City of Hope aumenta la capacidad con el apoyo del CIRM



Un premio del CIRM a Taby Ahsan, PhD, del City of Hope Comprehensive Cancer Center, permitirá que las instalaciones de fabricación en el campus de City of Hope y su equipo creen procesos de plataforma y análisis para la fabricación escalable, así como análisis para permitir una traducción acelerada de los conceptos de investigación a la clínica.



Estos procesos son elementos críticos para que la terapéutica avance desde los primeros ensayos clínicos de terapéutica en investigación hasta productos disponibles comercialmente”.

—Taby Ahsan, PhD

El CIRM aumenta las capacidades de fabricación en la UCSF

Brian Shy, MD, PhD, y su equipo de la Universidad de California, San Francisco, recibieron un premio del CIRM para construir conexiones más sólidas entre varias instalaciones de fabricación en todo el estado. Además de respaldar la investigación financiada por el CIRM, el premio permitirá que las instalaciones de la UCSF integren mejor el desarrollo de procesos y las actividades de transferencia de tecnología, incorporen plataformas de próxima generación para la ingeniería celular y establezcan canales para el escalado eficiente de productos exitosos. Esto ayudará a avanzar y traducir rápidamente mejores terapias celulares para el cáncer, enfermedades infecciosas, trasplantes e indicaciones de enfermedades raras.



Estamos al comienzo de lo que es posible con las herramientas emergentes y el ecosistema creado por el CIRM”.

—Brian Shy, MD, PhD



Fotografías: Cortesía de City of Hope y UCSF

La terapia genética de Rocket Pharma avanza

Rocket Pharmaceuticals, una empresa líder en biotecnología de etapa tardía está desarrollando RP-L201, una terapia genética basada en vectores lentivirales (LV) para la deficiencia de adhesión de leucocitos-I (LAD-I) grave. Tras los convincentes resultados del programa de desarrollo clínico, que fue respaldado por \$5.9 millones en fondos del CIRM, la terapia génica en investigación está siendo revisada por la FDA para su posible aprobación en los EE. UU.

RP-L201 tiene como objetivo administrar una terapia génica única a pacientes que padecen LAD-I grave, un trastorno inmunitario genético pediátrico poco común que causa infecciones recurrentes y fatales. La opción de tratamiento actual, un trasplante de médula ósea, conlleva riesgos sustanciales y es posible que no sea accesible a tiempo para los niños afectados.

“Estamos agradecidos con el CIRM por proporcionar fondos para apoyar esta investigación crítica, así como a los pacientes, cuidadores e investigadores que han compartido este viaje con nosotros. Esperamos continuar trabajando para llevar RP-L201 a los pacientes lo más rápido posible”, dijo Kinnari Patel, PharmD, MBA, presidente y director de operaciones de Rocket Pharma.



Arriba: Los Langenhop y sus tres hijos. Los tres hermanos nacieron con LAD-1.

Abajo: El doctor Donald Kohn dirigió el ensayo clínico en la UCLA.



Transformando vidas a través de la terapia génica

A los nueve años, Marley Gaskins se convirtió en la primera paciente en unirse a un ensayo clínico en UCLA dirigido por Donald Kohn, MD. El ensayo clínico, patrocinado por Rocket Pharmaceuticals y financiado por el CIRM, avanzó en una terapia genética innovadora que cambia la vida, conocida como RP-L201, para pacientes con deficiencia de adhesión leucocitaria-1 (LAD-I) grave.

El viaje de Marley con este raro trastorno pediátrico que paraliza el sistema inmunitario comenzó cuando era un bebé.

“Cuando tenía tres años, un absceso en el estómago la llevó al hospital durante cinco semanas”, compartió la madre de Marley, Tamara Hogue.



Sabía en mi corazón que esta era una oportunidad para una vida normal”.

—Tamara, la madre de Marley

Las infecciones empeoraron y se hicieron más frecuentes, y Marley finalmente necesitó atención las 24 horas. Entonces, cuando Tamara se enteró de la prueba, se abalanzó sobre ella. “Sabía en mi corazón que esta era una oportunidad para una vida normal”.

El tratamiento consistió en recolectar las células madre de Marley, corregirlas genéticamente e inyectarlas de nuevo en su torrente sanguíneo para que se replicaran. También significó quimioterapia para eliminar las células defectuosas restantes y hacer espacio para que crezcan las trasplantadas.

Hoy, a los 14 años, el cuerpo de Marley crea un suministro continuo de glóbulos blancos sanos capaces de combatir infecciones y le permite vivir una vida adolescente típica. Debido a que las células son suyas, no hay riesgo de rechazo.

Los médicos esperan que la terapia única mantenga a Marley y a otros pacientes con LAD-I saludables de por vida.



Fotografía: UC Davis Health



Arriba: Tobi, paciente del ensayo CuRe, y sus padres, Jeff y Michelle. Más información sobre la historia de Tobi en la página 29.

Abajo: Geoff Lomax, DrPH, Director Asociado de Acceso de Pacientes, y Emily Crotti, MPH, Gestora de Proyectos de Acceso de Pacientes.

Uniando la ciencia y las comunidades

El CIRM se compromete a poner los medicamentos regenerativos a disposición de las diversas comunidades de California, con el acceso de los pacientes como piedra angular de su misión. A través de Alpha Clinics Network y los futuros Centros Comunitarios de Excelencia en Atención, la Agencia tiene como objetivo mejorar la disponibilidad de terapias financiadas por el CIRM.

Este esfuerzo es una colaboración continua entre proveedores de atención médica, organizaciones comunitarias y legisladores. La financiación del CIRM ha permitido a estos socios cerrar la brecha entre los avances de la investigación y el acceso de los pacientes.



Abriendo puertas a nuevas terapias

El CIRM espera crear un panorama de atención médica más inclusivo y equitativo en California, haciendo que la medicina regenerativa innovadora sea accesible para quienes más la necesitan.

El Grupo de Trabajo de Accesibilidad y Asequibilidad (AAWG) tiene la tarea de brindar recomendaciones a la Junta del CIRM, el Comité de Supervisión Ciudadana Independiente (ICOC), para examinar y desarrollar estrategias de asequibilidad que mejoren la accesibilidad de las terapias resultantes de la investigación financiada por el CIRM. “Reflejando el compromiso del CIRM con el acceso, el AAWG tiene como objetivo garantizar que la medicina regenerativa transformadora esté disponible para las comunidades de California”, dijo Maria Bonneville, presidenta del AAWG y vicepresidenta del ICOC.

Este año, la presidenta Bonneville y el presidente de la Junta del ICOC, Dr. Vito Imbasciani, compartieron la visión del CIRM y las iniciativas clave con los legisladores estatales de California.



Fotografía: Carlos Puma



Alpha Clinics Network: avance de la terapia celular y genética a través de la colaboración

Alpha Clinics Network, financiada por el CIRM, se destaca como un brillante ejemplo de fortaleza colaborativa. La red está compuesta por nueve centros médicos de clase mundial en todo California. La Red lleva a cabo ensayos clínicos financiados por el CIRM y ensayos de medicina regenerativa en nombre de patrocinadores comerciales y académicos. Estos ensayos involucran a médicos y enfermeras especializados e incorporan tecnologías de tratamiento novedosas e innovadoras.

Cada centro incluye programas de divulgación sólidos que involucran asociaciones con defensores de pacientes y partes interesadas de la comunidad para dar visibilidad a los ensayos clínicos. Esta infraestructura está diseñada para satisfacer las necesidades emergentes de las comunidades históricamente subrepresentadas y en colaboración con nuestros futuros Centros Comunitarios de Excelencia en Atención (CCCE). Los pacientes reciben tratamientos de calidad de personal especialmente capacitado y la oportunidad de unirse a ensayos clínicos, todo en un solo entorno de estilo continuo de atención. Además, la Red capacita a una fuerza laboral para sostener estos esfuerzos a lo largo del tiempo.

La clave del éxito de la Red es su capacidad para acelerar el progreso a través de la colaboración, el intercambio de conocimientos y la capacidad de brindar tratamientos complejos de manera eficiente y eficaz.

Lograr impacto

40+ áreas de enfermedades

250+ ensayos clínicos

2,000+ participantes en ensayos clínicos

Nueve centros médicos líderes

- Centro médico Cedars-Sinai
- City of Hope
- Universidad Stanford
- Universidad de California, Davis
- Universidad de California, Irvine
- Universidad de California, Los Ángeles
- Universidad de California, San Diego
- Universidad de California, San Francisco
- Universidad del Sur de California/ Hospital Infantil de Los Ángeles

Centros Comunitarios de Excelencia en Atención: aumento del acceso a ensayos clínicos en toda California

La Iniciativa de Investigación, Tratamientos y Curas de Células Madre de California de 2020 (Proposición 14) exige el establecimiento de Centros Comunitarios de Excelencia en Atención (CCCE) para promover el acceso a los programas que surjan de la investigación financiada por el CIRM. Los CCCE se incluyen en el programa de Infraestructura del CIRM y sirven a su visión estratégica de brindar soluciones del mundo real, ampliar las oportunidades de desarrollo profesional de la fuerza laboral y promover la inclusión y la diversidad en el campo.

En enero de 2024, el CIRM aprobó una oportunidad de financiación de \$60 millones para los CCCE. A través de esta nueva iniciativa, el CIRM tiene como objetivo establecer centros de excelencia geográficamente diversos y con capacidad de respuesta cultural para apoyar el acceso a ensayos clínicos o tratamientos de medicina regenerativa aprobados.



Fotografía: Barbara Ries para UCSF

Arriba: La doctora Jennifer M. Puck baila con HT, una joven paciente que participó en un ensayo clínico financiado por el CIRM en la UCSF para Artemis-SCID, un trastorno genético poco frecuente.

Abajo: HT y su familia en la Nación Navajo



Fotografía: Gillian Grisman / UCSF

Rompiendo barreras a los ensayos clínicos

La oportunidad para que los pacientes participen en ensayos clínicos puede salvar vidas, pero también es muy desafiante. Las dificultades financieras, los viajes de larga distancia y los compromisos familiares pueden impedir que muchas personas lleguen y permanezcan en los ensayos clínicos.

Reconociendo estas barreras, el CIRM se compromete a apoyar a los pacientes a través del proceso de ensayos clínicos a través del Programa de Apoyo al Paciente. Los fondos para el Programa de Apoyo al Paciente se reservan en virtud de la

Proposición 14 para abordar los cuellos de botella informativos, financieros y logísticos que experimentan los pacientes de ensayos clínicos y sus familias.

Como parte de este compromiso, el Programa de Apoyo al Paciente ofrecerá una gama de servicios, que incluyen referencias a ensayos clínicos y navegación de ensayos. Al reducir los costos y mejorar la representación en los ensayos, esta iniciativa promueve un panorama de atención médica más inclusivo y equitativo, lo que promueve la misión del CIRM.

La especialista en alergía e inmunología pediátrica, la doctora Caroline Y. Kuo, con un paciente en el Centro Broad de Investigación de Células Madre de la UCLA, una institución financiada por el CIRM.



El equipo del CIRM difunde información sobre la anemia falciforme y las células madre en el Desfile Black Joy 2024 en Oakland, California.

Celebrando el poder y la comunidad

Como parte de los esfuerzos continuos de alcance comunitario liderados por el equipo de comunicaciones y divulgación, el CIRM participó con orgullo en el Desfile Black Joy 2024. Esta celebración anual de la comunidad negra comenzó con un animado desfile en Oakland y culminó con una celebración con empresas locales, organizaciones comunitarias y artistas musicales.

El enfoque del evento de este año fue principalmente celebrar la alegría, pero también destacó otro aspecto importante: el compromiso del CIRM de financiar la investigación de la medicina regenerativa para la enfermedad de células falciformes (SCD), que afecta a aproximadamente 100,000 personas en los Estados Unidos. Hasta la fecha, el CIRM ha asignado más de \$65 millones para la investigación, fabricación y desarrollo de terapias para la SCD.

Este compromiso es un excelente ejemplo de los continuos esfuerzos de divulgación del CIRM. Estos eventos están diseñados para interactuar con las comunidades, brindar educación sobre medicina regenerativa y cultivar asociaciones estratégicas.





DEI: Impulsando el crecimiento, defendiendo el cambio

La diversidad, la equidad y la inclusión (DEI) son parte integral de cada programa que apoya el CIRM. La Agencia cree que todas las personas merecen el mismo acceso a los beneficios de la medicina regenerativa.

Para promover este compromiso, el CIRM requiere una representación diversa en los proyectos que financia.

Las propuestas deben reflejar una comprensión de las disparidades de salud asociadas con la indicación objetivo y deben ir acompañadas de un plan de acción que demuestre un compromiso proactivo con poblaciones diversas y



estrategias para fomentar la sensibilidad cultural.

Requerir que los ensayos clínicos amplíen la representación es un paso importante para revertir la inequidad estructural en la atención médica.

Otro objetivo del CIRM es reforzar una fuerza laboral diversa y calificada que represente a la diversa población de California. El CIRM brinda oportunidades educativas y de capacitación en medicina regenerativa para estudiantes y jóvenes profesionales con diversos antecedentes educativos y niveles de habilidades.

Fotografías: Cortesía del Programa de Becas COMPASS de la UC Irvine, Centro Broad de Investigación de Células Madre de la UCLA

Avanzando en un tratamiento de células madre para la espina bífida

El año pasado, el CIRM otorgó una subvención de \$9 millones a Diana Farmer, MD de UC Davis Health y jefa de cirugía pediátrica de Shriners Children's Northern California para apoyar la finalización de un ensayo clínico de Fase 2 para mejorar los resultados de los niños nacidos con una forma grave de espina bífida llamada mielomeningocele.

La espina bífida es un defecto de nacimiento que ocurre cuando la columna vertebral y la médula espinal no se forman correctamente durante el desarrollo fetal, lo que generalmente resulta en una parálisis de la parte inferior del cuerpo de por vida.

El premio CIRM apoyará el avance de un tratamiento único que se administra mientras un feto aún se está desarrollando en el útero de la madre a través de un parche recubierto con células madre derivadas de la placenta. El tratamiento está destinado a prevenir la parálisis y preservar la función corporal normal y, en última instancia, mejorar la calidad de vida de estos niños afectados y sus familias.

Michelle Johnson y Jeff Maginnis acordaron participar en el ensayo de Fase 1 en UC Davis Health cuando descubrieron a través de un examen de ultrasonido a las 20 semanas de embarazo que el feto en desarrollo tenía espina bífida.

Meses después de recibir el tratamiento en el útero, Michelle dio a luz a un bebé sano llamado Tobi, quien desde el principio comenzó a alcanzar todos sus hitos y a mover las piernas.

Hoy, Tobi está "excelente" y puede caminar de forma independiente, dice su madre Michelle. "Le encanta nadar, escalar, saltar en el trampolín y montar su tractor verde".



Fotografías: Cortesía Michelle Johnson





Fotografías de Hartlove-Goodyear

Llevando nuestra visión hacia adelante

Los programas de educación y capacitación del CIRM son un vínculo vital con el mañana.

El CIRM ofrece a los estudiantes tradicionalmente desatendidos varias oportunidades para participar en programas de capacitación. Estas iniciativas preparan a una nueva generación de científicos para las terapias celulares y génicas que emergen del campo actual.

Al establecer una fuerza laboral de científicos altamente calificados y diversos, el CIRM se asegura de que su impacto en la investigación y el desarrollo, la infraestructura, el alcance comunitario y de pacientes, y las iniciativas DEI continúen en el futuro.

Capacitación de la próxima generación de científicos

El CIRM ofrece valiosas vías educativas y de capacitación en medicina regenerativa diseñadas para estudiantes y jóvenes profesionales de las diversas comunidades de California.

Cuatro programas financiados por el CIRM (SPARK, Bridges, COMPASS y Scholars) apoyan a la próxima generación de científicos de medicina regenerativa desde la escuela secundaria hasta becarios clínicos. Cada programa ofrece experiencia práctica que se basa en el dominio de las habilidades técnicas críticas para el avance científico y médico futuro.

Visión educativa del futuro del CIRM

Este año, el CIRM lanzó su estrategia de red educativa, que representa un paso significativo en el compromiso de la Agencia con la educación. Estas iniciativas integran a la perfección los programas educativos con aplicaciones prácticas, conectando la capacitación con el uso en el mundo real y aprovechando las inversiones en los programas de pilares de educación e infraestructura del CIRM.

Programas de educación y capacitación: perspectivas nuevas y diversas en la mesa científica

SPARK

Programa de verano para acelerar el conocimiento de la medicina regenerativa

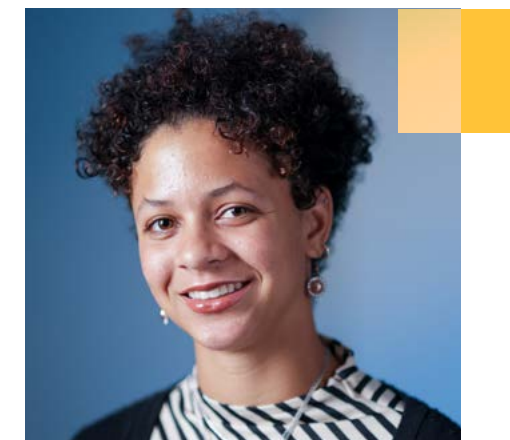
11 | PROGRAMAS EN TODO EL ESTADO

El programa de pasantías de verano remunerado del CIRM ofrece a estudiantes de secundaria diversas oportunidades únicas en la investigación de células madre, particularmente a estudiantes que de otro modo no tendrían la oportunidad de participar en pasantías debido a limitaciones económicas.

Faith “Andy” Anderson

Becario SPARK de la Universidad de Medicina y Ciencias Charles R. Drew 2023

“Este campo me emociona porque tiene mucho potencial. Mi parte favorita de la conferencia SPARK fue ver mujeres y personas de minorías que se parecen a mí haciendo un trabajo innovador”.



BRIDGES

Puentes a la investigación y terapia con células madre

15 | PROGRAMAS EN TODO EL ESTADO

Bridges prepara a candidatos diversos y desfavorecidos en licenciaturas y maestrías en ciencias para oportunidades de investigación y carreras en medicina regenerativa.

David Mendoza Bautista

Pasante de maestría, Novo Nordisk, becario de Cal Poly Bridges 2023-2024

“El programa Bridges realmente se trata de crecimiento personal e innovación colectiva”.



COMPASS

Creando oportunidades a través de la tutoría y la asociación en la ciencia de células madre

16 PROGRAMAS EN TODO EL ESTADO

COMPASS satisface la necesidad apremiante de orientar y nutrir una representación diversa de estudiantes universitarios para carreras en medicina regenerativa. Ayuda a construir una fuerza laboral que refleje la demografía de California y sea sensible a las disparidades de la población en la investigación y la atención médica.

Ryan Johnson

Estudiante de pregrado Becario COMPASS de UC Riverside 2023-24

“La mejor parte ha sido todo el trabajo práctico y simplemente ser parte de la medicina regenerativa en su conjunto”.



CIRM SCHOLARS

Capacitación en investigación de medicina regenerativa de descubrimiento y traslacional

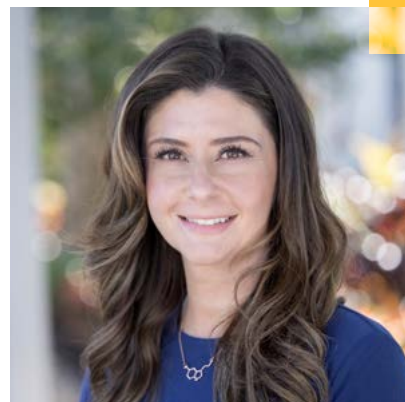
18 PROGRAMAS EN TODO EL ESTADO

El programa CIRM Scholars apoya y capacita a científicos de California en varias etapas educativas, incluidos becarios pre y posdoctorales y clínicos. Los académicos contribuyen a la expansión de la investigación con células madre a medida que se convierten en investigadores expertos y aspirantes a líderes en medicina regenerativa.

Orquídea García

Beca posdoctoral, 2013-2014
Children’s Hospital Los Angeles—El Instituto de Investigación Saban

“Lo más inspirador es la diversidad de pensamiento que abarca el programa para abordar algunos de los desafíos clínicos y científicos más complejos”.



Fotografía cortesía de Orquídea García

Actualización del presupuesto

La misión y la estrategia del CIRM están ancladas en cinco áreas críticas de inversión: Descubrimiento, Traslacional, Clínica, Educación e Infraestructura. Cada pilar es esencial para avanzar en la investigación de la terapia con células madre y genes en cada etapa.

Presupuesto para el año fiscal 2023-24: \$519 millones

Presupuesto de investigación para el año fiscal 2023-24	\$	519 millones
Presupuesto administrativo para el año fiscal 2023-2024	\$	28.9 millones
Fondos aprobados (subvenciones y premios)	\$	377.4 millones
Fondos restantes	\$	141.5 millones
Saldo bajo gestión activa	\$	627.5 millones
Número de premios de proyectos activos		342

Presupuesto aprobado de seis meses para el año fiscal 2024-25*: \$420.5 millones

Investigación de descubrimiento	Investigación traslacional	Investigación clínica	Programas educativos	Programa de infraestructura
\$116.2 millones	\$60 millones	\$145.5 millones	\$0**	\$88.8 millones

El CIRM invierte en investigación básica en etapa inicial o de descubrimiento que avanza en su comprensión de cómo funcionan las células madre y los genes, y explora nuevos y revolucionarios tratamientos y tecnologías de terapia génica y con células madre.

El CIRM ayuda a que la mejor investigación a nivel de descubrimiento avance al siguiente nivel al establecer, respaldar y probar el trabajo fundamental requerido para las solicitudes de ensayos clínicos.

El CIRM está construyendo una cartera de terapias de clase mundial y respaldando cada proyecto con un Panel Asesor Clínico y otros recursos para aumentar sus posibilidades de éxito en los ensayos clínicos y durante los mismos.

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

El programa de infraestructura del CIRM construye centros reales y virtuales que brindan los recursos, la experiencia y la información necesarios para avanzar en la misión del CIRM.

*Admite nuevos premios de julio a diciembre de 2024. El CIRM solicitará fondos para el resto del año fiscal en diciembre de 2024.

**Los programas educativos actuales están totalmente financiados para el año fiscal actual.

Es la comunidad la que cataliza el camino a seguir

En el CIRM, la búsqueda del cambio positivo y el compromiso de ser pioneros en los avances de la medicina regenerativa son principios fundamentales. Estas fuerzas motivan al equipo del CIRM a trabajar arduamente para lograr lo que alguna vez pareció inalcanzable.

El CIRM reconoce que realmente se necesita una comunidad para tener éxito. La Agencia entiende que los avances científicos más significativos surgen de una comunidad rica en perspectivas diversas.

