

Octubre 2009

California Stem Cell, Inc. y Families of Spinal Muscular Atrophy Anuncian la Finalización del Encuentro Pre-IND con la FDA en relación a la Terapia con Células Madre para el Tratamiento de la Atrofia Muscular Espinal Tipo I.

Avance Significativo hacia Terapia Novedosa para Ensayos Clínicos Humanos.

California Stem Cell, Inc. (CSC) y Families of Spinal Muscular Atrophy (FSMA) anunciaron hoy que ya han finalizado el encuentro formal previo Droga Nueva de Investigación (*Pre-IND meeting-en Inglés*) con la FDA (*Administración de Drogas y Alimentos*) en donde se trataron las pautas en relación a los pasos, requerimientos clínicos y regulatorios para la presentación de una Droga Nueva de Investigación (*IND-en Inglés*) con el objeto de poder iniciar los ensayos con seres humanos utilizando una terapia de reemplazo de neuronas motoras derivadas de células madre para la Atrofia Muscular Espinal (AME) Tipo I.

AME es la causa genética principal de muerte de infantes. Es un trastorno genético causado por la deficiencia crónica en la producción de proteína SMN, la cual es esencial para el buen funcionamiento de las neuronas motoras en la médula espinal. AME se distingue por el deterioro de los músculos que controlan el gateo, el caminar, la deglución y la respiración. No existen terapias aprobadas para el tratamiento de AME. Aproximadamente 1 de cada 6.000 bebés que nacen está afectado. 1 de cada 40 personas es portadora genética, lo que indica la existencia de aproximadamente 7.5 millones de portadores en Estados Unidos.

CSC (*California Stem Cell Inc.*), una empresa líder en la terapéutica de células madre, ha desarrollado un producto de reemplazo de neuronas motoras derivadas de células madre para el tratamiento de AME Tipo I. Estudios preclínicos, completados con la colaboración del científico Hans Keirstead de la Universidad de California, Irvine mostraron pruebas clínicas del concepto con la demostración del beneficio funcional observado en modelos de animales tratados con el producto de reemplazo de neuronas motoras de CSC, el **MotorGraft™**.

MotorGraft™ tiene el potencial de beneficiar a AME mediante dos mecanismos: 1) reemplazar directamente las neuronas motoras perdidas durante el curso de la enfermedad, lo que permitirá que se tenga nueva inervación del músculo, y 2) dar a las neuronas motoras restantes una función de apoyo.

"Nos sentimos muy alentados por la respuesta favorable que recibimos de la FDA" dijo Chris Airriess, Gerente de Operación General de CSC, **"Esto nos ayudará enormemente en la preparación de nuestra solicitud IND (Droga Nueva de Investigación) final. La cumplimentación de este logro clave es un paso importante para hacer avanzar nuestro programa con AME hacia la fase clínica. "Estamos muy satisfechos con el resultado del encuentro pre-IND con la FDA"** dijo Kenneth Hobby, Presidente de FSMA. **"Para desarrollar esta terapia de reemplazo de neuronas motoras para AME, FSMA ha invertido casi \$2 Millones**

de dólares en los últimos 8 años. Este encuentro significó un logro importante para la posterior presentación IND y eventual aplicación de la terapia a pacientes”.

Acerca de Families of Spinal Muscular Atrophy:

Families of Spinal Muscular Atrophy se dedica a la creación de un tratamiento y cura mediante: la financiación y avance de un programa de investigación exhaustivo; el apoyo mediante trabajo en red a familias con AME; la información y servicios; la optimización de cuidados para todo paciente con AME; la educación del público en general y profesionales de la salud acerca de AME; el pedido de apoyo gubernamental a AME; el acogimiento en una comunidad amorosa a toda persona con AME. La visión de FSMA es un mundo en el que la Atrofia Muscular Espinal sea tratable y curable. Families of SMA es una organización sin fines de lucro, eximida del impuesto 501(c)3, con 26 Centros a lo largo y ancho de Estados Unidos y con más de 65.000 miembros y personas que brindan su apoyo. Families of SMA financia y dirige los programas de investigación de AME. Los resultados y progresos exitosos logrados que van desde la investigación básica hasta los programas de descubrimiento de una droga dan esperanza certera a familias y pacientes.

Acerca de California Stem Cell, Inc.:

California Stem Cell, Inc. es una empresa privada que se dedica a la fabricación de células humanas de alta pureza para desarrollo terapéutico. Desde su fundación en 2005, California Stem Cell, Inc. ha evolucionado y posee en las instalaciones de Irvine métodos de propiedad intelectual para la producción graduable de neuronas motoras, progenitores neuronales, células del músculo cardíaco y nódulo sinoauricular. California Stem Cell actualmente se encuentra en la etapa de desarrollo preclínico de terapias con células madre destinadas a la atrofia muscular espinal (AME), Escoliosis Lateral Amiotrófica (ELA), y daños en la médula espinal.