



"BrainStorm Cell Therapeutics" es una compañía biotecnológica que desarrolla innovadoras terapias autólogas con células madre para el tratamiento de enfermedades neurodegenerativas altamente debilitantes como la esclerosis lateral amiotrófica (ALS, también conocida como enfermedad de Lou Gehrig), la esclerosis múltiple (MS) y la enfermedad de Parkinson (PD).

NurOwn™ es la tecnología patentada, primera en su género, capaz de inducir la secreción de factores neurotróficos (NTF) por parte de las células madre mesenquimales derivadas de médula ósea (MSCs) autólogas. El enfoque del tratamiento NurOwn es trasplantar estas células "MSC - NTF" de nuevo en el paciente en, o cerca de, el sitio de la lesión, en la columna vertebral y/o los músculos.

Actualmente estamos llevando a cabo un ensayo clínico de ALS de Fase IIa con NurOwn en el Centro Médico de la Universidad Hadassah en Jerusalén. En este ensayo de seguridad y eficacia preliminar, 12 pacientes recibirán la administración combinada intramuscular e intratecal de células NurOwn, divididos en tres cohortes con dosis crecientes. Los participantes del estudio serán monitorizados durante seis meses después del trasplante.

La compañía también planea iniciar un ensayo clínico de fase II en los EE.UU. a principios de 2014, aún pendiente de aprobación por la FDA.

NurOwn ha recibido la designación de "Fármaco Huérfano" por la FDA de EE.UU. y la Comisión Europea (CE).

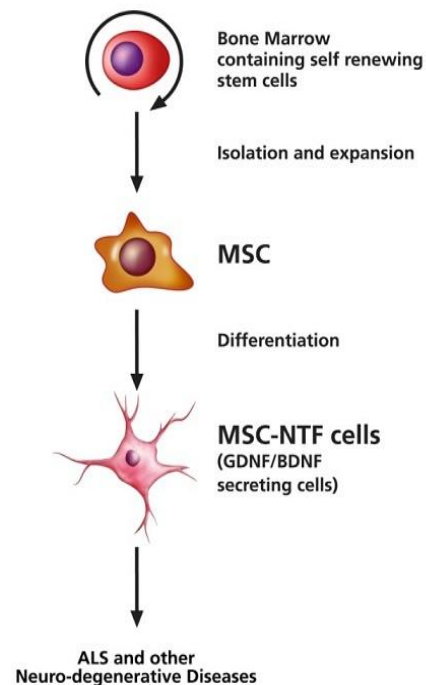
Más de 20 publicaciones demostrando el mecanismo de acción, la farmacología y la eficacia in vivo de NurOwn han sido publicadas por el equipo científico en las principales revistas científicas.

## Células Diferenciadas

NurOwn es nuestra tecnología de terapia autóloga de células madre adultas para la diferenciación de células madre mesenquimales derivadas de médula ósea (MSCs) en células especializadas de soporte a neuronas.

Estas células de soporte a neuronas (conocidas como células "MSC-NTF") secretan factores neurotróficos, o factores de crecimiento del nervio, para la protección de las neuronas motoras existentes, la promoción del crecimiento de las neuronas motoras, y el restablecimiento de la interacción nervio-músculo.

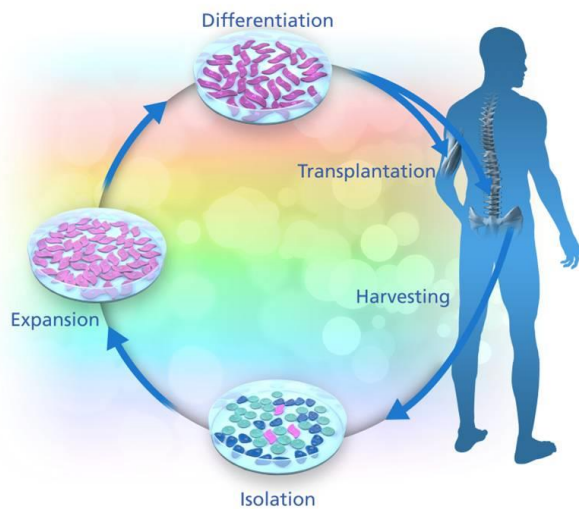
La capacidad para diferenciar las células madre mesenquimales en células MSC-NTF, y la constatación de su actividad y potencia antes del trasplante, hacen de NurOwn una innovadora aproximación para el tratamiento de enfermedades neurodegenerativas.



## Autólogo ("auto-trasplante")

El enfoque NurOwn es autólogo, o auto-trasplantado, es decir, utilizando las propias células madre del paciente. Tiene un alto perfil de seguridad, sin riesgo de rechazo y sin necesidad de tratamiento con agentes inmunosupresores, que podrían causar efectos secundarios severos y/o a largo plazo. Además, está libre de la controversia asociada al uso de células madre embrionarias presente en algunos países.

## El proceso de trasplante NurOwn



Se recoge una muestra de médula ósea del paciente, y se aíslan las células madre mesenquimales (MSC).

Las células MSC se expanden y son inducidas a diferenciarse en células MSC-NTF.

Las células son entonces trasplantadas de vuelta al paciente, en la médula espinal o los músculos.

La tecnología NurOwn se basa en los logros científicos del Profesor Eldad Melamed, ex Jefe de Neurología en el Centro Médico Rabin en Israel y miembro del Comité Científico de la Fundación Michael J. Fox para la Investigación del Parkinson, y el profesor Daniel Offen, Jefe del Laboratorio de Neurociencias del Centro de Investigación Médica Felsenstein (FMRC) de la Universidad de Tel Aviv.