



## Composition du 10<sup>ème</sup> Conseil Scientifique de l'AFM-Téléthon

### Comité Permanent

Le Comité Permanent du Conseil Scientifique aborde des questions transversales et d'ordre stratégique. C'est l'organe force de proposition auprès du Conseil d'Administration de l'AFM-Téléthon dans la mise en œuvre de la politique scientifique et la stratégie de l'Association.

#### Melki Judith, MD, PhD

- **Présidente.**
- Professeur de Génétique Médicale, Faculté de Médecine, Inserm, Université de Paris Saclay, Centre Hospitalier Sud-Francilien, Hôpital du Kremlin-Bicêtre (France).

#### Gillis Jean-Marie, MD, PhD

- **Président d'honneur.**
- Professeur Emérite, Université Catholique de Louvain (Belgique).

#### Lehn Pierre, MD, PhD

- **Vice-président.**
- Professeur Emérite, faculté de Médecine, Université de Bretagne Occidentale, Brest (France).

#### Tajbakhsh Shahragim, PhD

- **Vice-président.**
- Directeur de recherche CNRS, coordonnateur Labex "Cellules Souches et Développement", Institut Pasteur, Paris (France).

#### Taylor Naomi, MD, PhD

- **Vice-présidente.**
- Directeur de recherche Inserm, chef du groupe "Hématopoïèse et Immunothérapie", Institut de Génétique Moléculaire de Montpellier (IGMM) (France).
- Chef de la section "Oncologie : du Fondamental au Translationnel", Institut National du Cancer, Bethesda (États-Unis).

#### Butler-Browne Gillian, PhD

- **Secrétaire générale.**
- Directeur de recherche Emérite Inserm, Centre de Recherche en Myologie, Institut de Myologie, Paris (France).

#### Attarian Shahram, MD, PhD

- **Conseiller.**
- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, chef de service des Maladies Neuromusculaires et de la SLA, Hôpital de la Timone, Marseille (France).

#### Desnuelle Claude, MD, PhD

- **Conseiller.**
- Professeur en Neurologie, Praticien Hospitalier, CHU de Nice (France).

## **Vilquin Jean-Thomas, PharmD, PhD**

- **Conseiller.**
- Directeur de recherche CNRS, groupe "Cellules Souches et Thérapie Cellulaire", Institut de Myologie, Paris (France).

## **Sont également membres du Comité Permanent :**

- **Les présidents des commissions d'Appels d'Offres.**
- **Les présidents des Comités d'Orientation Stratégique Et Thérapeutique.**

## **Commissions d'Appels d'Offres**

Le Conseil Scientifique est organisé en 8 commissions thématiques. Les projets proposés à l'AFM-Téléthon dans le cadre d'Appels d'Offres sont sélectionnés par les commissions concernées, sur leur qualité scientifique et leur pertinence au regard de notre stratégie.

## **Commission "Bases Moléculaires et Physiopathologie des Dystrophies Musculaires"**

### **Aartsma-Rus Annemieke, PhD**

- **Présidente de la commission.**
- Professeur en Génétique Translationnelle, département de Génétique Humaine, Université de Leiden (Pays-Bas).

### **Bendahan David, PhD**

- Directeur de recherche CNRS, chef du groupe "Système Musculosquelettique", Centre de Résonance Magnétique Biologie et Médicale (CRMBM), Marseille (France).

### **De Greef Jessica, PhD**

- Directeur de recherche, département de Génétique Humaine, Université de Leiden (Pays-Bas).

### **Flanigan Kevin, MD, PhD**

- Directeur du centre de Thérapie Génique, Hôpital National pour Enfants, Columbus (États-Unis).

### **Patel Ketan, PhD**

- Professeur de Biologie du Développement et Physiologie, chef de Médecine Moléculaire et Cellulaire, Université de Reading (Royaume-Uni).

### **Schara-Schmidt Ulrike, MD, PhD**

- Professeur de Neuro-pédiatrie et Maladies Neuromusculaires, chef du département de Neuro-pédiatrie, chef du centre des Maladies Neuromusculaires chez les enfants et les adolescents, Hôpital Universitaire d'Essen (Allemagne).

### **Sweeney Lee H., PhD**

- Professeur en Pharmacologie et Thérapeutiques, directeur de l'Institut de Myologie de l'Université de Floride (États-Unis).

### **Topaloglu Haluk, MD, PhD**

- Professeur en Neuro-pédiatrie, Université d'Hacettepe, Ankara (Turquie).

### **Tuffery-Giraud Sylvie, PhD**

- Ingénieur de recherche, laboratoire de Génétique des Maladies Rares, Institut Universitaire de Recherche Clinique, Montpellier (France).

### Wahbi Karim, MD, PhD

- Maître de Conférence Universitaire, Praticien Hospitalier, Cardiologue, service de Cardiologie, Hôpital Cochin, Paris (France).

## Commission "Bases Moléculaires et Physiopathologie des Autres Maladies Neuromusculaires"

### Procaccio Vincent, MD, PhD

- **Président de la commission.**
- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, responsable de l'unité Fonctionnelle de Génétique Moléculaire, responsable du département de Biochimie-Génétique, CHU d'Angers (France).

### Allard Bruno, PhD

- Professeur des Universités, Institut NeuroMyoGène (INMG), Université Claude Bernard Lyon 1, Villeurbanne (France).

### Allenbach Yves, MD, PhD

- Professeur associé, département de Médecine Interne et Immunologie Clinique, centre de recherche en Myologie, Hôpital Universitaire Pitié-Salpêtrière, Paris (France).

### Bendahhou Saïd, PhD

- Directeur de recherche CNRS, laboratoire de PhysioMédecine Moléculaire, Université de Nice-Sophia Antipolis, Nice (France).

### Gitiaux Cyril, PhD

- Neuropédiatre, Neurophysiologie clinique pédiatrique, Centre de référence des maladies neuromusculaires, Hôpital Universitaire Necker-Enfants Malades, Paris (France).

### Marty Isabelle, PhD

- Responsable d'équipe Inserm, équipe "Myologie Cellulaire et Pathologies", Grenoble-Institut des Neurosciences, Grenoble (France).

### Prigione Alessandro, MD, PhD

- Professeur de Médecine Métabolique Pédiatrique, département de Pédiatrie Générale, Néonatalogie et Cardiologie Pédiatrique, Clinique Universitaire de Düsseldorf (Allemagne).

### Savarese Marco, PhD

- Maître de Conférence, Chef de groupe junior, Folkhälsan, Université de Helsinki (Finlande).

### Viscomi Carlo, PhD

- Professeur associé, département des Sciences Biomédicales, Université de Padoue (Italie).

## Commission "Cellules Souches"

### Morgan Jennifer E., PhD

- **Présidente de la commission.**
- Professeur en Biologie Cellulaire, Centre Neuromusculaire Dubowitz, Institut de la Santé Infantile, Collège Universitaire de Londres (Royaume-Uni).

### Agbulut Onnik, PhD

- Chef d'équipe de recherche "Cellules Souches et Biothérapies", département Adaptation Biologique et Vieillesse, Institut de Biologie Paris-Seine, Paris (France).

### Chapel Alain, PhD

- Chargé de recherche, Institut de Radioprotection et de Sécurité Nucléaire (IRSN), Fontenay-aux-Roses (France).

### Chazaud Bénédicte, PhD

- Directeur de recherche Inserm, chef de l'équipe de recherche "Environnement des Cellules Souches Musculaires et Homéostasie du Muscle Strié Squelettique", Institut NeuroMyoGène (INMG), Lyon (France).

### Jaconi Marisa, PhD

- Maître d'Enseignement et de Recherche, faculté de Médecine, département de Neurosciences Fondamentales, Université de Genève (Suisse).

### Malgrange Brigitte, PharmD, PhD

- Directeur de recherche, GIGA-Neurosciences, laboratoire de Neurobiologie du Développement, Université de Liège (Belgique).

### Martinat Cécile, PhD

- Directeur de recherche Inserm, Institut des Cellules Souches pour le Traitement et l'Étude des Maladies Monogéniques (I-Stem), Corbeil-Essonnes (France).

### Peault Bruno, PhD

- Professeur, Centre de Recherche de l'Hôpital Orthopédique, École de Médecine David Geffen, Université de Californie à Los Angeles (États-Unis).

### Sampaolesi Maurilio, PhD

- Professeur en Médecine, responsable du laboratoire de Cardio-Myologie Translationnelle, Institut de Recherche sur les Cellules Souches, Université Catholique de Louvain (Belgique).

### Vilquin Jean-Thomas, PharmD, PhD

- Directeur de recherche CNRS, groupe "Cellules Souches et Thérapie Cellulaire", Institut de Myologie, Paris (France).

## Commission "Myologie Fondamentale"

### Munoz-Canoves Pura, PhD

- **Présidente de la commission.**
- Professeur de Biologie Cellulaire, Altos Labs, Inc., Institut des Sciences de San Diego (États-Unis).

### Amthor Helge, MD, PhD

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, Pédiatre, Université de Versailles-Saint-Quentin-en-Yvelines (France).

### Borycki Anne-Gaëlle, PhD

- Maître de conférences, département des Sciences Biomédicales, Université de Sheffield (Royaume-Uni).

### Gomes Edgar, PhD

- Professeur associé, Directeur d'Unité, Institut de Médecine Moléculaire (IMM), Lisbonne (Portugal).

### Jagla Krzysztof, PhD

- Directeur de recherche Inserm, chef d'équipe, laboratoire de Génétique, Reproduction et Développement (GReD), Université de Clermont-Ferrand (France).

### Kelly Robert G., PhD

- Directeur de recherche Inserm, chef de l'équipe "Contrôle Génétique du Développement Cardiaque", Institut de Biologie du Développement de Marseille (IBDM), Marseille (France).

### **Krüger Marcus, PhD**

- Professeur, Centre de recherche "CECAD", Responsable de recherche Plateforme, Institut de Génétique, Université de Cologne (Allemagne).

### **Maire Pascal, PhD**

- Directeur de recherche Inserm, département de Développement Neuromusculaire, Génétique et Physiopathologie, Institut Cochin, Paris (France).

### **Mourikis Philippos, PhD**

- Directeur de recherche CNRS, chef d'équipe de recherche "Interactions des niches de Cellules Souches musculaires", Institut Mondor de Recherche Biomédicale (IMRB), Créteil (France).

### **Schiaffino Stefano, MD, PhD**

- Professeur émérite en Pathologie Générale, Vice-Président de l'Institut Vénitien de Médecine Moléculaire, Université de Padoue (Italie).

## **Commission "Système Nerveux (Motoneurone et Jonction Neuromusculaire)"**

### **Kalb Robert G., MD, PhD**

- **Président de la commission.**
- Professeur en Neurologie, directeur du Centre SLA "Les Turner", chef de la division des Maladies Neuromusculaires, département de Neurologie, Université de Northwestern, Chicago (États-Unis).

### **Bolino Alessandra, PhD**

- Chef de l'Unité des Neuropathies Héréditaires Humaines, division des Neurosciences, Institut Scientifique San Raffaele, INSPE, Milan (Italie).

### **Fallon Justin, PhD**

- Professeur en Neurosciences, co-directeur du Centre Brown pour la Neurobiologie des Cellules et des Synapses, département de Neurosciences, Université de Brown, Providence (États-Unis).

### **Funalot Benoît, MD, PhD**

- Professeur en Médecine, Praticien Hospitalier, Généticien, chef du département de Génétique, Hôpital Henri-Mondor, Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (APHP), Créteil (France).

### **Herbst Ruth, PhD**

- Professeur associé, Université Médicale de Vienne, Institut de Prophylaxie Spécifique et de Médecine Tropicale, Centre de Physiopathologie, d'Infectiologie et d'Immunologie, Vienne (Autriche).

### **Julien Jean-Pierre, PhD**

- Professeur, département de Psychiatrie et Neurosciences, Centre de Recherche CERVO, Université de Laval, Québec (Canada).

### **Lefebvre Suzie, PhD**

- Chargée de recherche Inserm, unité T3S (Toxicité Environnementale, Objectifs Thérapeutiques, Signalisation Cellulaire et Biomarqueurs), équipe "Dégénérescence et Plasticité du Système Locomoteur", Centre Universitaire des Saints-Pères, Paris (France).

### **Monani Umrao R., PhD**

- Professeur en Neurologie (Pathologie et Biologie Cellulaire), Université de Columbia, New York (États-Unis).

### **Pareyson Davide, MD, PhD**

- Professeur en Neurologie, chef du département Fonctionnel des Maladies Neurologiques Rares, responsable de l'Unité Clinique de Neuropathies Dégénératives Centrales et Périphériques, Fondation "IRCCS", Milan (Italie).

### **Perlson Eran, MD, PhD**

- Département de Physiologie et de Pharmacologie, Faculté de Médecine Sackler, Université de Tel Aviv (Israël).

### **Zeviani Massimo, MD, PhD**

- Directeur Scientifique, Professeur en Neurologie, Institut pour la Santé Maternelle et Infantile, IRCCS "Burlo Garofolo", Trieste (Italie).

## **Commission "Thérapie Génique et/ou Cellulaire des Maladies Rares"**

### **Büning Hildegard, PhD**

- **Présidente de la commission.**
- Chef du laboratoire de Biologie Infectieuse & de Transfert de Gène, Institut d'Hématologie Expérimentale, Ecole de Médecine de Hanovre (Allemagne).

### **Cathomen Toni, PhD**

- Professeur en Thérapie Génique et Cellulaire, Directeur de l'Institut de Médecine Transfusionnelle et de Thérapie Génique, Université de Freiburg (Allemagne).

### **Ertl Hildegund C.J., MD**

- Professeur, Présidente du département d'Immunologie, Directeur du Centre de Vaccins et d'Immunothérapie, Institut Wistar, Philadelphie (États-Unis).

### **Malerba Alberto, PhD**

- Maître de Conférences en Thérapie Génique, département des Sciences Biologiques, Royal Holloway, Université de Londres (Royaume-Uni).

### **Dalkara Deniz, PhD**

- Chef d'équipe, Thérapies Géniques et Modèles Animaux pour les Maladies Neurodégénératives (ERC-Inserm), département de Thérapeutique, Institut de la Vision, Paris (France).

### **Mingozzi Federico, PhD**

- Directeur non exécutif Nava Therapeutics Inc, Philadelphia (États-Unis).

### **Montier Tristan, MD, PhD**

- Professeur en Biologie Cellulaire, Enseignant chercheur Inserm, chef de l'équipe "Transfert de Gènes et Thérapie Génique", Université de Bretagne Occidentale, Brest (France).

### **Raoul Cédric, PhD**

- Directeur de recherche Inserm, chef de l'équipe "Pathologie du Motoneurone : Neuro-inflammation et Thérapie", Hôpital de Saint-Eloi, Institut des Neurosciences de Montpellier (INM) (France).

### **Tedesco Francesco Saverio, MD, PhD**

- Professeur en Biologie Neuromusculaire et Médecine Régénérative, département de Biologie Cellulaire et du Développement, Collège Universitaire de Londres (Royaume-Uni).

### **Zimmermann Valérie, PhD**

- Chargée de recherche CNRS, groupe "Hématopoïèse et Immunothérapie", Institut de Génétique Moléculaire, Montpellier (France).

## **Commission "Thérapie Pharmacologique des Maladies Neuromusculaires et Recherche Translationnelle"**

### **Callizot Noelle, PharmD, PhD**

- **Co-Présidente de la commission.**
- Neuro-Pharmacologue, Neuro-SYS, Aix-en-Provence (France).

### **Haiech Jacques, MD, PhD**

- ***Co-Président de la commission.***
- Professeur d'Université, membre du groupe Chimie Biologie Intégrative, Strasbourg (France).

### **Bowser Robert, PhD**

- Professeur en Neurobiologie, Institut Neurologique Barrow, fondateur et président de "Iron Horse Diagnostics, Inc.", Phoenix (États-Unis).

### **Cougoule Céline, PhD**

- Chercheur associé, équipe "Détection Immunitaire et Elimination des Pathogènes", Institut de Pharmacologie et de Biologie Structurale (IPBS), CNRS, Toulouse (France).

### **Cox Gregory A., PhD**

- Professeur associé, Laboratoire Jackson, Bar Harbor (États-Unis).

### **Galzi Jean-Luc, PhD**

- Directeur de recherche CNRS, Biotechnologie et Signalisation Cellulaire, École Supérieure de Biotechnologie de Strasbourg (ESBS), Université de Strasbourg, Illkirch (France).

### **Howson Patrick, PhD**

- Président-Directeur Général de la société Junaxo Inc., responsable du service Chimie de la société Atuka Inc., associé scientifique à l'Université "Health Network", Toronto (Canada).

### **Levy Nicolas, MD, PhD**

- Professeur de Génétique Médicale, Responsable Scientifique pour les Maladies Rares, Laboratoire Servier, Suresnes (France).

### **Niks Erik H., MD, PhD**

- Consultant en Neurologie et Neurologie Pédiatrique, Myologue, département de Neurologie, Université de Leiden (Pays-Bas).

### **Scherman Daniel, PhD**

- Directeur de recherche CNRS, directeur de l'Unité de Technologies Chimiques et Biologiques pour la santé (UTCBS), directeur du Centre de Recherche Pharmaceutique de Paris (France).

## **Commission "Recherche Médicale"**

### **Klein Andrea, MD, PhD**

- ***Présidente de la commission.***
- Médecin en chef en Neuropédiatrie, Hôpital Universitaire de Berne, (Suisse).

### **Attarian Shahram, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, chef de service des Maladies Neuromusculaires et de la SLA, Hôpital de la Timone, Marseille (France).

### **Bernert Günther, MD**

- Chef du département de Médecine pour l'Enfant et l'Adolescent, Hôpital pour Enfants Preyer, Vienne (Autriche).

### **Claeys Kristl, MD, PhD**

- Chef du laboratoire "Maladies du Muscle et Neuropathies", Neurologue, département de Neurosciences, Hôpital Universitaire de Louvain (Belgique).

### **De Visser Marianne, MD**

- Professeur de Maladies Neuromusculaires, Centre Médical Universitaire d'Amsterdam, Amsterdam (Pays-Bas).

### **Laugel Vincent, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, Neuro-pédiatre, service de Pédiatrie, CHU de Strasbourg (France).

## Solé Guilhem, MD

- Neurologue, Responsable du Centre de Référence Maladies Neuromusculaires, CHU de Bordeaux (France).

## Comités d'Orientation Stratégique Et Thérapeutique (COSET)

Les Comités d'Orientation Stratégique Et Thérapeutique (COSET) suivent les projets qui se prolongent sur plusieurs années et représentent des investissements importants. Chaque projet stratégique est suivi par un COSET spécifique, qui l'accompagne et le conseille. Les présidents de ces COSET sont membres du Comité Permanent du Conseil Scientifique.

### Aartsma-Rus Annemieke, PhD

- **Présidente du COSET "Projet Oligonucléotides Antisens pour le traitement de la Dystrophie Myotonique (Steinert)".**
- Professeur en Génétique Translationnelle, département de Génétique Humaine, Université de Leiden (Pays-Bas).

### Büning Hildegard, PhD

- **Présidente du COSET "Projet sur la Thérapie pour la Neuropathie à Axones Géants".**
- **Présidente du COSET "Projet utilisant la surexpression du gène de la neuroglobine pour le traitement de diverses pathologies neurologiques".**
- Chef du laboratoire de Biologie Infectieuse & de Transfert de Gène, Institut d'Hématologie Expérimentale, Ecole de Médecine de Hanovre (Allemagne).

### Butler-Browne Gillian, PhD

- **Présidente du COSET "Projet sur les Myopathies Centro-Nucléaires".**
- Directeur de recherche Emérite Inserm, Centre de Recherche en Myologie, Institut de Myologie, Paris (France).

### Funalot Benoît, MD, PhD

- **Président du COSET "Vers des médicaments candidats dans les cardiomyopathies mitochondriales".**
- Professeur en Médecine, Praticien Hospitalier, Généticien, chef du département de Génétique, Hôpital Henri-Mondor, Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (APHP), Créteil (France).

### Maire Pascal, PhD

- **Président du COSET "Thérapie cellulaire pour la DMD : Caractérisation du potentiel régénératif de cellules Pax7+ dérivées de cellules hiPS".**
- **Président du COSET "Etude comparative des précurseurs myogéniques dérivés d'iPSC proposés pour la thérapie cellulaire dans un modèle de dystrophie musculaire de Duchenne".**
- Directeur de recherche Inserm, département de Développement Neuromusculaire, Génétique et Physiopathologie, Institut Cochin, Paris (France).

### Montier Tristan, MD, PhD

- **Président du COSET "Projet DUX4 dans la FSHD ; pathophysiologie et approches thérapeutiques".**
- Professeur en Biologie Cellulaire, Enseignant chercheur Inserm, chef de l'équipe "Transfert de Gènes et Thérapie Génique", Université de Bretagne Occidentale, Brest (France).