



## Composition du 8<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.

#### **Boespflug-Tanguy Odile, MD, PhD**

- **Présidente.**
- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, généticienne, chef du service de Neuro-pédiatrie, Hôpital Robert-Debré, Paris (France).

#### **Fardeau Michel, MD, PhD**

- **Président d'honneur.**
- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, service de Neurologie, Hôpital de la Pitié-Salpêtrière, Paris (France).

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

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

#### **Claustres Mireille, MD, PhD**

- **Vice-présidente.**
- Professeur des Universités, directeur de recherche Inserm, ex-chef de service du laboratoire de Génétique Moléculaire, ex-coordonnateur du département de Génétique Moléculaire, Institut Universitaire de Recherche Clinique, Montpellier (France).

#### **Lehn Pierre, MD, PhD**

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

#### **Butler-Browne Gillian, PhD**

- **Secrétaire générale.**
- Directrice de recherche Inserm, unité "Remodelage, Régénération et Thérapie du Muscle Strié", Institut de Myologie, Paris (France).

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

- **Conseiller scientifique.**
- 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 autres maladies neuromusculaires »

#### De Bleecker Jan, MD, PhD

- **Président de la commission.**
- Professeur en neurologie, responsable du laboratoire de Recherche en Myopathologie, directeur du centre de référence des Maladies Neuromusculaires, Université de Gand (Belgique).

#### Allard Bruno, PhD

- Professeur des Universités, co-responsable d'une UMR, Institut NeuroMyoGène (INMG), Université de Claude Bernard Lyon 1, Villeurbanne (France).

#### Barhanin Jacques, MD, PhD

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

#### Benveniste Olivier, MD, PhD

- Chef du département de Médecine Interne et Immunologie Clinique, Hôpital de la Pitié-Salpêtrière, APHP, Paris (France).

#### Goebel Hanns, MD, PhD

- Professeur, consultant en Myopathologie, département en Neuropathologie, "Charité-Universitätsmedizin", Berlin (Allemagne).

#### Marty Isabelle, PhD

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

#### Procaccio Vincent, MD, PhD

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

#### Rahman Shamima, MD, PhD

- Professeur en médecine métabolique pédiatrique, "Institute of Child Health", "University College of London", Londres (Royaume-Uni).

## Commission « Bases moléculaires et physiopathologie des dystrophies musculaires »

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

- **Président de la commission.**
- Professeur en neuro-pédiatrie, Université d'Hacettepe, Ankara (Turquie).

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

- 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, Marseille (France).

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

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

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

- Directeur du centre de Thérapie Génique, "Nationwide Children's Hospital", Columbus (Etats-Unis).

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

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

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

- Consultant en neurologie et neurologie pédiatrique, myologue, département de Neurologie, Université de Leiden (Pays-Bas).

### **Patel Ketan, PhD**

- Professeur de biologie du développement et physiologie, chef de médecine moléculaire et cellulaire, Université de Reading (Royaume-Uni).

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

- Professeur en pharmacologie et thérapeutiques, directeur de l'Institut de Myologie de l'Université de Floride (Etats-Unis).

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

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

## Commission « Cellules Souches »

### **Peault Bruno, PhD**

- **Président de la commission.**
- Chef d'équipe de recherche "Développement tissulaire, régénération et réparation", Université d'Édimbourg (Royaume-Uni).
- Professeur à UCLA, Los Angeles (Etats-Unis).

### **Hugnot Jean-Philippe, PhD**

- Maître de Conférence Universitaire en neurosciences et biologie cellulaire, neurobiologiste cellulaire, Institut de Neurosciences de Montpellier (France).

### **Jaconi Marisa, PhD**

- Maître d'Enseignement et de Recherche, faculté de médecine, département de Pathologie et d'Immunologie, 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).

### **Morgan Jennifer E., PhD**

- Professeur en biologie cellulaire, Centre Neuromusculaire Dubowitz, "Institute of Child Health", "University College of London", Londres (Royaume-Uni).

### **Sampaolesi Maurilio, PhD**

- Professeur en médecine, responsable du laboratoire de Cardio-myologie Translationnelle, Hôpital Universitaire de Louvain (Belgique).

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

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

## **Commission « Médicale »**

### **Antoine Jean-Christophe, MD, PhD**

- **Président de la commission.**
- Professeur en neurologie, chef du pôle Neuro Osteo Loco-Moteur, CHU de Saint-Etienne (France).

### **Feasson Léonard, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, responsable de l'unité de Myologie, CHU de Saint-Etienne (France).

### **Laforet Pascal, MD, PhD**

- Consultant en pathologie neuromusculaire, Praticien Hospitalier, neurologue, Hôpital Pitié-Salpêtrière, APHP, Garches (France).

### **Pepin Jean-Louis, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, pneumologue, CHU de Grenoble (France).

### **Rivier François, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, neuro-pédiatre, service de Neuro-pédiatrie, CHU de Montpellier (France).

### **Sacconi Sabrina, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, neurologue, responsable de l'Unité du Muscle et Neurologie Périphérique, CHU de Nice (France).

### **Tiffreau Vincent, MD, PhD**

- Maître de Conférence Universitaire, Praticien Hospitalier, responsable de l'Unité de Médecine Physique et Réadaptation, CHRU de Lille (France).

### **Vialle Raphaël, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, chirurgien orthopédique, service d'Orthopédie Pédiatrique, Hôpital Armand-Trousseau, Paris (France).

### Wahbi Karim, MD, PhD

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

## Commission « Myologie fondamentale »

### Tajbakhsh Shahragim, PhD

- **Président de la commission.**
- Directeur de recherche CNRS, coordonnateur Labex "Cellules souches et développement", Institut Pasteur, Paris (France).

### Amthor Helge, MD, PhD

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

### Borycki Anne-Gaëlle, PhD

- Senior Lecturer, département des Sciences Biomédicales, Université de Sheffield (Royaume-Uni).

### Duchen Michael, PhD

- Professeur en physiologie, département de Biologie Cellulaire et Développement, "University College of London", Londres (Royaume-Uni).

### Flück Martin, PhD

- Professeur en physiologie moléculaire et physiologie du muscle, chef du laboratoire sur la Plasticité du Muscle, département d'Orthopédie, Hôpital Universitaire de Balgrist, Université de Zurich (Suisse).

### Jagla Krzysztof, PhD

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

### Maire Pascal, PhD

- Directeur de recherche Inserm, département de Développement Reproduction Cancer, Institut Cochin, Paris (France).

### Munoz-Canoves Pura, PhD

- Professeur de biologie cellulaire, département "Expérimental et Sciences de la Santé", Université Pompeu Fabra, Barcelone (Espagne).

### Partridge Terence, PhD

- Professeur de biologie systémique intégrative, Centre de Médecine Génétique, "Children's National Medical Center", Washington (Etats-Unis).

### 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) »

### Fischbeck Kenneth H., MD, PhD

- **Président de la commission.**
- Professeur en neurologie, responsable du département Neurogénétique, National Institute of Health, Bethesda (Etats-Unis).

### **Burglen Lydie, MD, PhD**

- Chef du laboratoire de Neurogénétique Moléculaire, Praticien Hospitalier, neuro-pédiatre, Hôpital Trousseau, APHP, Paris (France).

### **Fallon Justin, PhD**

- Professeur en neurosciences, co-directeur du "Brown Center for the Neurobiology of Cells and Synapses", département de Neurosciences, Brown University, Providence (Etats-Unis).

### **Funalot Benoît, MD, PhD**

- Professeur en médecine, Praticien Hospitalier, généticien, chef du département de Génétique, Hôpital Henri-Mondor, APHP, Créteil (France).

### **Gillingwater Thomas H., PhD**

- Professeur en anatomie, faculté de médecine, sciences biomédicales, Université d'Edimbourg (Royaume-Uni).

### **Haase Georg, MD, PhD**

- Responsable de l'équipe "Maladie des Motoneurones : Modélisation et Thérapie", Institut des Neurosciences de la Timone, Marseille (France).

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

- Professeur, département de psychiatrie et neurosciences, Université de Laval, Institut Universitaire en Santé Mentale de Québec (Canada).

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

- Professeur en neurologie, Faculté de Médecine, Université de Philadelphie (Etats-Unis).

### **Meriglioli Matthew, MD, PhD**

- Professeur en sciences neurologiques, Chef de la section Maladies Neuromusculaires, centre médical, Université de Rush, Chicago (Etats-Unis).

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

- Professeur associé en neurologie, département de Pathologie et Biologie Cellulaire, Université de Columbia, New York (Etats-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).

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

- Professeur en neurologie, directeur du "Medical Research Council" (MRC), Unité de Biologie Mitochondriale, Cambridge (Royaume-Uni).

## **Commission « Thérapie génique et/ou cellulaire des maladies rares »**

### **Taylor Naomi, MD, PhD**

- **Présidente de la commission.**
- Directeur de recherche Inserm, chef du groupe "Hématopoïèse et Immunothérapie", Institut de Génétique Moléculaire, Montpellier (France).

### **Büning Hildegard, PhD**

- Chef du laboratoire de Biologie Infectieuse & de Transfert de Gène, Institut d'Hématologie Expérimental, Hanovre (Allemagne).

### **Davoust Jean, PhD**

- Chef d'équipe "Biologie des Lymphocytes T régulateurs et Applications en Biothérapie", département Immunologie, Infectiologie et Hématologie (I2H), Institut Necker-Enfants Malades, Paris (France).

### **Demengeot Jocelyne, PhD**

- Directeur de recherche, chef du laboratoire de Physiologie des Lymphocytes, Institut Gulbenkian de Ciência, Oeiras (Portugal).

### **Midoux Patrick, PhD**

- Directeur de recherche Inserm, Directeur Général adjoint du Centre de Biophysique Moléculaire, Orléans (France).

### **Mouly Vincent, PhD**

- Directeur de recherche Inserm, chef de l'équipe "Régénération, Physiopathologie et Approches Thérapeutiques : Modèles Cellulaires", Institut de Myologie, Paris (France).

### **Nguyen Tuan Huy, PhD**

- Chargé de recherche Inserm, Centre de Recherche en Transplantation et en Immunologie, co-responsable de la plateforme SFR Bonamy GenoCellEdit, Nantes (France).

### **Raoul Cédric, PhD**

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

### **Wells Dominic, PhD**

- Professeur en médecine translationnelle, "Royal Veterinary College", Université 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 MNM et recherche translationnelle »**

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

- **Co-Présidente de la commission.**
- Neuro-Pharmacologiste, Neuro-SYS, Rognonas (France).

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

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

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

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

### **Bowser Robert, PhD**

- Professeur en neurobiologie, Institut Neurologique Barrow, fondateur et président de "Iron Horse Diagnostic, Inc", Phoenix (Etats-Unis).

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

- Professeur associé, "The Jackson Laboratory", Bar Harbor (Etats-Unis).

### **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).

### **Landais Paul, MD, PhD**

- Professeur des Universités, Praticien Hospitalier, néphrologue, CHU de Nîmes, Institut Universitaire de Recherche Clinique, Université de Montpellier (France).

### Ruegg Urs, PhD

- Professeur en pharmacie, Centre Médical Universitaire de Genève (Suisse).

### 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 Pharmaceutiques de Paris (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, comme les essais de médicaments sur l'homme. 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.

### Desnuelle Claude, MD, PhD

- **Président du COSET « Projet de thérapie génique - Traitement de la Dystrophie Musculaire de Duchenne ».**
- Professeur en neurologie, Praticien Hospitalier, CHU de Nice (France).

### Gillis Jean-Marie, MD, PhD

- **Président du COSET « Projet de Traitement des Maladies Monogéniques par Chirurgie du Gène ».**
- Professeur émérite, Université Catholique de Louvain (Belgique).

### Gonin Patrick, PhD

- **Président du COSET « Essai clinique de Thérapie Génique – Syndrome de Sanfilippo de type B ».**
- Responsable de la Plateforme d'évaluation préclinique Institut de Cancérologie Gustave-Roussy, Villejuif (France).

### Haiech Jacques, MD, PhD

- **Président du COSET « Vers les Thérapeutiques des Maladies Mitochondriales ».**
- Professeur d'Université, membre du groupe Chimie Biologie Intégrative, Strasbourg (France).

### Jagla Krzysztof, PhD

- **Président du COSET « Projet vers le traitement de la Dystrophie Myotonique Oculopharyngée ».**
- Directeur de recherche Inserm, chef d'équipe, laboratoire de Génétique, Reproduction et Développement (GRED), Université de Clermont-Ferrand (France).

### Vilquin Jean-Thomas, PharmD, PhD

- **Président du COSET « Projet de Différentiation des Cellules Souches Pluripotentes Induites (iPS) pour le traitement des Dystrophies Musculaires ».**
- **Président du COSET « Projet sur les Myopathies Centro-Nucléaires ».**
- Directeur de recherche Inserm, groupe "Cellules Souches et Thérapie Cellulaire", Institut de Myologie, Paris (France).