

## FINANCEMENTS DE PROJETS ET AIDES AUX JEUNES CHERCHEURS ATTRIBUÉS PAR L'AFM EN 2010

### 1/ APPELS D'OFFRES AFM (*SESSION 1 et SESSION 2*)

#### Groupe 1 : Myologie fondamentale

##### Aides aux jeunes chercheurs - Session 1

**AINAOUI Nadera**, Directeur lab. PRATS, Toulouse, France

*Projet : Etude des mécanismes de régulation traductionnelle de l'expression de FGF1 au cours de la myogénèse*

**BEYER Sabrina**, Directeur lab. ROUGON, Marseille, France

*Projet : Development of the ventricular conduction system: impact on ventricular non-compaction*

**BOULBERDAA Mounia**, Directeur lab. NEBIGIL-DESAUBRY, Illkirch, France

*Projet : Role of Epicardial-PKR1 signaling in adipogenesis and adipogenesis cells: implication of progenitor cells*

**MARULLO Fabrizia**, Directeur lab. PURI, Roma, Italie

*Projet : DNA damage signaling to MyoD and the control of the genomic stability of skeletal muscles*

**NICOT Anne-Sophie**, Directeur lab. SCHAEFFER, Lyon, France

*Projet : Implication of GSK3 in muscle autophagy via its interaction with the autophagy receptor NBR1*

**RIBEIRO SOARES Ricardo Jose**, Directeur lab. SANDRI, Padova, Italie

*Projet : Role of miRNA in the control of muscle mass*

**SHIVTIEL Shoham**, Directeur lab. ABERDAM, Haifa, Israel

*Projet : Role and regulation of p63 during cardiogenesis: relevance to cardiopathies and cell therapy*

##### Aides aux jeunes chercheurs - Session 2

**BLOUIN Cedric**, Directeur lab. GOUD, Paris, France

*Projet : Combining Cell Biology and Membrane Physics to study caveolin-3 in the mechanics of normal and dystrophic muscle cells*

**CHURCH Jarrod**, Directeur lab. LYNCH, Victoria, Australie

*Projet : Enhancing the activity of the Notch signalling pathway to treat muscular dystrophy*

**DIGUET Nicolas**, Directeur lab. FRIGUET , Paris, France

*Projet : Involvement of integrin in the development of dilated cardiomyopathy*

**DYACHUK Vyacheslav**, Directeur lab. HAENLIN, Toulouse, France

*Projet : Identification of nesprin 1-interacting proteins and their role in muscle cell differentiation*

**LESCROART Fabienne**, Directeur lab. BUCKINGHAM, Paris, France

*Projet : Recruitements of progenitors to the poles of the mouse heart: origin and behaviour of myocardial cells studied by retrospective clonal analyses*

**MAMAEVA Daria**, Directeur lab. BUCHETON, Montpellier, France

*Projet : Adult Muscle as a Source of Multipotent Stem Cells for Cell-Based Regenerative Therapy.*

**MOZZETTA Chiara**, Directeur lab. PURI, Roma, Italie

*Projet : Characterization of deacetylase inhibitors-responsive population of muscle progenitor cells in dystrophic mice.*

**PERKINS Kelly**, Directeur lab. DAVIES, Oxford, United Kingdom

*Projet : Dynamic chromatin organisation and transcription factor selectivity controls A-Utrophin expression in muscle.*

**ROCHETEAU Pierre**, Directeur lab. TAJBAKHSH, Paris, France

*Projet : Characterisation of muscle satellite cell heterogeneity and biased DNA segregation*

#### **Financements de projets Tremplins - Session 1**

**BATUT Julie**, Directeur lab. HAENLIN, Toulouse, France

*Projet : Characterization of the function of CARM1 during myogenesis in zebrafish embryo*

**CARRA Serena**, Directeur lab. HOEKSTRA, Groningen, the Netherlands

*Projet : HspB8-Bag3, autophagy and Z-disc homeostasis : implications in peripheral neuropathy and muscular dystrophy*

**CONTI Francesco**, Directeur lab. MUNTONI, Londres, United Kingdom

*Projet : Integrins in skeletal muscle development : roles of talin in myoblast fusion and sarcomere assembly*

**RUGGIERO Florence**, Directeur lab. DELEAGE, Lyon, France

*Projet : Collagen XXII, a component of the myotendinous junction, as a candidate gene for myopathies*

#### **Financements de projets Tremplins - Session 2**

**DAIGNAN-FORNIER Bertrand**, Directeur lab. VELOURS, Bordeaux, France

*Projet : Physiological and toxic functions of the metabolic intermediate AICAR*

**VERMOT Julien**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Mechanisms of myocardium contractility in models of cardiomyopathies.*

#### **Financements de projets - Session 1**

**ALLARD Bruno**, Directeur lab. ALLARD, Villeurbanne, France

*Projet : Functional role of TRPC1 in normal and dystrophin-deficient skeletal muscle fibers*

**ARMAND Anne-Sophie**, Directeur lab. VIDAL, Paris, France

*Projet : Analysis of the cooperative synergy between NFATc2 and MyoD during mouse myogenesis*

**BARDONI Barbara**, Directeur lab. BARBRY, Valbonne Sophia-Antipolis, France

*Projet : Search for FXR1P role during myogenesis through the identification of its interacting RNAs*

**DANDOLO Luisa**, Directeur lab. COURAUD, Paris, France

*Projet : Role of the imprinted H19-Igf2 locus in myogenesis*

**JAIMOVICH Enrique**, Directeur lab. JAIMOVICH, Santiago, Chili

*Projet : Role of dystrophin in a macromolecular complex that mediates excitation-transcription coupling in skeletal muscle*

**KELLER Angelica**, Directeur lab. COURTY, Créteil, France

*Projet : Control of metabolic and contractile plasticity during in vitro myogenesis of genetically manipulated cell lines*

**LANFRANCHI Gerolamo**, Directeur lab. LANFRANCHI, Padova, Italie

*Projet : Protective role of JunB in skeletal muscle atrophy*

**LEIBOVITCH Serge**, Directeur lab. CHATONNET, Montpellier, France

*Projet : Control of muscle growth by eIF3f*

**MAKARENKOVA Helen**, Directeur lab. GALL, San Diego, Cal, USA

*Projet : The Role of Barx2 in Muscle Progenitor Cell Specification and Activation during Muscle Development and Regeneration*

**MIQUEROL Lucile**, Directeur lab. ROUGON, Marseille, France

*Projet : Development of the ventricular conduction system: impact on ventricular non-compaction*

**MOOG-LUTZ Christel**, Directeur lab. GIRARD, Toulouse, France

*Projet : Unravelling the roles of ASB2 and filamin b during myogenic differentiation*

**MORGAN Jennifer**, Directeur lab. MUNTONI, Londres, United Kingdom

*Projet : Satellite cell self-renewal in vivo*

**PRATS Anne-Catherine**, Directeur lab. PARINI, Toulouse, France

*Projet : Regulators of FGF1 during myoblast differentiation: implications in myogenesis and vectorology*

**PURI Pier Lorenzo**, Directeur lab. PURI, Rome, Italie

*Projet : Pharmacological treatment of muscular dystrophy : insight into deacetylase inhibitor-mediated regeneration and synergistic cooperation with anti-inflammatory agents*

**TAILLANDIER Daniel**, Directeur lab. CHARDIGNY, Ceyrat, France

*Projet : Métabolisme de protéines myofibrillaires majeures (actine, myosine, télthonine...) du muscle squelettique : Identification des E3 ligases impliquées*

**VANDROMME Marie**, Directeur lab. TROUCHE, Toulouse, France

*Projet : Interplay between histone methyl-transferases and histone demethylases during skeletal muscle differentiation*

**ZORZATO Francesco**, Directeur lab. URWYLER, Bâle, Suisse

*Projet : Characterization of JP-45 KO skeletal muscles during aging*

## Financements de projets - Session 2

**AUBOEUF Didier**, Directeur lab. PUISSIEUX, Lyon, France

*Projet : Characterization of the transcriptome at the exon level during myoblast differentiation*

**BASTIDE Bruno**, Directeur lab. BERTHOIN, Villeneuve d'Asq, France

*Projet : Functional and proteomic analysis of the role of O-linked N-acetyl-glucosaminylation in skeletal muscle physiology*

**BINETRUY Bernard**, Directeur lab. ALESSI, Marseille, France

*Projet : Role of the p38 MAP Kinase in the commitment of Embryonic Stem Cells into the Skeletal Muscle lineage*

**BUCKINGHAM Margaret**, Directeur lab. BUCKINGHAM, Paris, France

*Projet : Upstream regulators of myogenic stem cell fate during muscle development in the mouse embryo*

**CARNAC Gilles**, Directeur lab. MERCIER, Montpellier, France

*Projet : Potential benefits of retinoids treatment for human muscle precursor cells.*

**CHAZAUD Benedicte**, Directeur lab. COURAUD, Paris, France

*Projet : Role of AMPK in the regulation of macrophage functions during normal muscle regeneration and degenerative myopathies*

**COUETTE Brigitte**, Directeur lab. MERCIER, Montpellier, France

*Projet : Implication of the frizzled receptor Fzd9 in skeletal muscle regrowth following atrophy due to inactivity*

**CREPALDI Tiziana**, Directeur lab. PANZICA, Turin, Italie

*Projet : HGF and c-Met receptor in heart development and cardiac function*

**DROUIN Jacques**, Directeur lab. DROUIN, Montréal, Canada

*Projet : Role of PITX3 in Muscle Satellite Cells.*

**DUBOIS Laurence**, Directeur lab. HAENLIN, Toulouse, France

*Projet : Genome wide screens for muscle identity genes*

**DUPREZ Delphine**, Directeur lab. JESSUS, Paris, France

*Projet : Fibroblast growth factor (Fgf) signalling in muscle growth, regeneration and disease*

**GANGLOFF Yann-Gael**, Directeur lab. SCHAEFFER, Lyon, France

*Projet : Role of mTOR at the neuromuscular junction and in skeletal muscle integrity : Implications for human diseases.*

**GHERARDI Romain**, Directeur lab. GHERARDI, Créteil, France

*Projet : Innate and adaptative immune reactions to myoinjury*

**JAGLA Krzysztof**, Directeur lab. VAURY, Clermont-Ferrand, France

*Projet : Filling the gaps in the myogenic pathway: I. Functional analyses of Nap1 and Pgym78 ; II. Genetic control of fusion counting*

**JASMIN Bernard**, Directeur lab. JASMIN, Ottawa, Canada

*Projet : Translation Regulation of Utrophin A in Skeletal Muscle via a Newly identified IRES*

**KALCHEIM Chaya**, Directeur lab. KALCHEIM, Jerusalem, Israel

*Projet : Role of the orientation of cell division in fate segregation of dermomyotome progenitors*

**LALEVEE-GIRARD Nathalie**, Directeur lab. ROUGON, Marseille, France

*Projet : Age-related physiological modifications of the cardiac muscle in drosophila.*

**LE RUMEUR Elisabeth**, Directeur lab. SALBERT, Rennes, France

*Projet : Molecular basis of the resistance of the sarcolemma to muscle contraction-relaxation stress by dystrophin*

**LEVI Giovanni**, Directeur Lab. DEMENEIX, Paris, France

*Projet : Cellular and molecular determinants of craniofacial myogenesis in vertebrates*

**LOMPRE Anne-Marie**, Directeur lab. HATEM, Paris, France

*Projet : Importance of miRNAs in Ca<sup>2+</sup> - regulated vascular remodelling*

**MAIRE Pascal**, Directeur lab. COURAUD, Paris, France

*Projet : Six Transcriptional Complexes (STC) during skeletal muscles development: an in vivo approach to unravel the biology of myogenic progenitors commitment and differentiation*

**MAYER Ulrike and PIEC Isabelle**, Directeur lab. MAYER, Norwich, United Kingdom

*Projet : Integrin alpha 7 in satellite cell activation and muscle regeneration*

**MERDES Andreas**, Directeur lab. HAENLIN, Toulouse, France

*Projet : The role of nesprins and centrosome proteins in muscle cell differentiation and disease*

**METZGER Daniel**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Characterization of androgen signaling in skeletal muscles*

**MOREL Véronique**, Directeur lab. SCHAEFFER, Lyon, France

*Projet : Role of drosophila nesprin in myonuclei localisation and function, and in muscle physiology.*

**NEBIGIL-DESAUBRY Canan**, Directeur lab. GALZI, Illkirch, France

*Projet : The role of PKR1 in heart neovascularization and function : involvement of tissue specific progenitor cells and genes*

**RUCKER-MARTIN Catherine**, Directeur lab. HUMBERT, Le Plessis-Robinson, France

*Projet : Control of the functional coupling between cardiac progenitors and the Centre : An in vitro human study*

**SOTIROPOULOS Athanassia**, Directeur lab. COURAUD, Paris, France

*Projet : Role of SRF in skeletal muscle hypertrophy and atrophy- from in vivo to molecular studies*

**TZAHHOR Eldad**, Directeur lab. TZAHHOR, Rehovot, Israel

*Projet : Many ways to myogenesis : unraveling distinct molecular paths in head muscle progenitors*

**ZAMMIT Peter**, Directeur lab. IRVING, Londres, United Kingdom

*Projet : Deciphering the Role of Sphingolipid Signalling in Muscle Function*

**ZINN-JUSTIN Sophie**, Directeur lab. GILQUIN, Gif sur Yvette, France

*Projet : Understanding laminopathy mechanisms involving transcription deregulation at the inner nuclear membrane*

## Groupe 2 : Bases moléculaires et physiopathologie des maladies neuro-musculaires

### Aides aux jeunes chercheurs - Session 1

**GUTIERREZ-CORTES Nicolas**, Directeur lab. LETELLIER, Bordeaux, France

*Projet : Influence of mitochondrial DNA level on energy metabolism : implication for mitochondrial diseases*

**HARISSEH Rania**, Directeur lab. BECQ, Poitiers, France

*Projet : TRPC dependent calcium influx and regulation by syntrophin: Involvement in DMD human muscle cells*

**HASSEINE Larbi Kamal**, Directeur lab. PAQUIS-FLUCKLINGER, Nice, France

*Projet : Involvement of hMSH5, a MutS homolog, in mitochondrial disorders*

**HERNANDEZ Andres**, Directeur lab. STEFAN, Stockholm, Suède

*Projet : Mechanism of mitochondrial myopathy in mouse and human skeletal muscle*

**MERLET Nolwenn**, Directeur lab. PACAUD, Nantes, France

*Projet : Cardiac beta3-adrenoceptors as new therapeutic target for heart failure in dilated cardiomyopathy*

**PEYRONNET Rémi**, Directeur lab. HONORE, Valbonne, France

*Projet : Filaminopathies and mechanotransduction*

**ROTROU Yann**, Directeur lab. GRESSENS, Paris, France

*Projet : Postnatal assessment of psychomotor disorders in genetic mouse models of neuromuscular disorders*

**VACCA Ophélie**, Directeur lab. SAHEL, Paris, France

*Projet : Modulation of mouse retinal angiogenesis by targeted expression of Dystrophin-Dp71*

**ZIVKOVIC Ivana**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Pathological mechanism of autosomal recessive centronuclear myopathy*

#### **Aides aux jeunes chercheurs - Session 2**

**BODEGA Beatrice**, Directeur lab. VALERIO, Rome, Italie

*Projet : Dissecting the role of repetitive DNA elements in pathogenesis of Duchenne muscular dystrophy*

**BOESCH Pierre**, Directeur lab. WALKER, Cambridge, UK

*Projet : Methods for genetic transformation of mitochondrial Biology Unit*

**CACHEUX Marine**, Directeur lab. FEUERSTEIN, Grenoble, France

*Projet : Study of RyR1 mutations involved in core myopathies : new physiopathological mechanisms?*

**DI FULVIO Sabrina**, Directeur lab. SINNREICH, Bâle, Suisse

*Projet : Dysferlin trafficking and sarcolemmal repair*

**DIALYNAS George**, Directeur lab. WALLRATH, Iowa City, USA

*Projet : A Drosophila model for Emery-Dreifuss muscular dystrophy*

**HNIA Karim**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Myotubularins and Intermediate Filaments: molecular link and common Physiopathology.*

**PERNET Lydia**, Directeur lab. VOURC'H, Grenoble, France

*Projet : Role of VCP in the regulation of the stress response Implication in IBMPFD myopathy*

**RAU Frédérique**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Understanding the molecular causes of myotonic dystrophies.*

**SCIANDRA Francesca**, Directeur lab. GIARDINA, Rome, Italie

*Projet : Characterization of a mouse model to evaluate the functional role of the alpha/Beta - dystroglycan interface*

**SELLIER Chantal**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Novel mechanisms of myotonic dystrophies and FXTAS pathogenesis and identification of drugs*

#### **Financements de projets Tremplins - Session 1**

**MEJAT Alexandre**, Directeur lab. SCHAEFFER, Lyon, France

*Projet : Denervation-induced apoptosis in Emery-Dreifuss muscular dystrophy*

#### **Financements de projets Tremplins - Session 2**

**FERNANDEZ-VIZARRA Erika**, Directeur lab. PRADOS TORRES, Zaragoza, Espagne

*Projet : Pathology of the mitochondrial respiratory chain. Complex III as the center of the system.*

## Financements de projets - Session 1

**BARAKAT-WALTER Isabelle-Ibtissam**, Directeur lab. FRACKOWIAK, Lausanne, Suisse

*Projet : Identification of the mechanisms underlying respiratory failure in dystrophy myotonic transgenic mice*

**BELENGUER Pascale**, Directeur lab. CASTEILLA, Toulouse, France

*Projet : Mitochondrial dynamics and diseases, the dynamin Msp1/OPA1 and its partners*

**BENDAHOU Said**, Directeur lab. COUNILLON, Valbonne, France

*Projet : Molecular mechanisms underlying Andersen's syndrome*

**BORNEMANN Antje**, Directeur lab. MEYERMANN, Tuebingen, Allemagne

*Projet : The molecular repertoire of the myofiber-endomysial interface in sIBM - a proteomics study*

**BUSHBY Kate**, Directeur lab. BURN, Newcastle upon Tyne, UK

*Projet : Understanding the role of dysferlin in neutrophil recruitment*

**CAMOUGRAND Nadine**, Directeur lab. VELOURS, Bordeaux, france

*Projet : Role of mitophagy in mitochondria quality control*

**CARLSON George**, Directeur lab. CARLSON, Kirksville, USA

*Projet : Assessing the therapeutic utility of specific IkappaB-alpha kinase 2 (IKK2) inhibitors in treating muscular dystrophy*

**CHINNERY Patrick F.**, Directeur lab. CHINNERY, Newcastle upon Tyne, UK

*Projet : Defining the molecular mechanism in hereditary cytoplasmic body myopathy with early respiratory failure*

**DE LONLAY Pascale**, Directeur lab. MUNNICH, Paris, France

*Projet : Characterization of a new metabolic defect responsible for severe rhabdomyolysis episodes in patients with mutations in LPIN1, LPIN2 and LPIN3 genes, and therapeutic approaches using myoblasts of LPIN1 mutated patients.*

**DE LONLAY Pascale**, Directeur lab. MUNNICH, Paris, France

*Projet : Therapeutic potential of anaplerotic and aminoglycoside treatments in the prevention of cardiomyopathy in organic acidemias*

**DJOUADI Fatima**, Directeur lab. BAROUKI, Paris, France

*Projet : Therapeutic potential of resveratrol for the correction of fatty acid oxidation and respiratory chain disorders*

**FOURY Françoise**, Directeur lab. MORSOMME, Louvain La Neuve, Belgique

*Projet : Yeast DNA polymerase gamma, a model for studying Pol G mutations associated with disease in human*

**GAILLY Philippe**, Directeur lab. GAILLY, Bruxelles , Belgique

*Projet : Role of TRP channels in myoblasts migration and differentiation and in muscle fibre death. Role in Duchenne muscular dystrophy*

**GAUTHIER Chantal**, Directeur lab. PACAUD, Nantes, France

*Projet : Cardiac beta 3-adrenoceptors as new therapeutic target for heart failure in dilated cardiomyopathy*

**GINELLI Enrico**, Directeur lab. GINELLI, Milan, Italie

*Projet : Dissecting the 4q genomic organization and its epigenetic features to understand the basis of facioscapulohumeral dystrophy*

**GOMES-PEREIRA Mario**, Directeur lab. MUNNICH, Paris, France

*Projet : Molecular and cellular dissection of neurological dysfunction in myotonic dystrophy type 1*

**GUEVEL Laetitia**, Directeur lab. FONTAINE-PERUS, Nantes, France

*Projet : Identification of global perturbations and phosphoproteome analysis of dystrophic muscle by proteomic approaches*

**GUICHENEY Pascale**, Directeur lab. HATEM, Paris, France

*Projet : Identifying new genetic causes of congenital muscular dystrophy and pathophysiology of the selenoprotein N deficiency*

**HERMANN Sylvie**, Directeur lab. BOLOTIN-FUKUHARA, Orsay, France

*Projet : Finding genes related to mtDNA integrity; a polysome profiling approach in Podospora*

**LANFRANCHI Gerolamo**, Directeur lab. LANFRANCHI, Padova, Italie

*Projet : Identification of the autoantibody signature in inflammatory myopathies*

**LAPORTE Jocelyn**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Physiopathology of the autosomal recessive centronuclear myopathies linked to Amphiphysin 2/BIN1*

**LYNCH Gordon**, Directeur lab. LYNCH, Victoria, Australie

*Projet : Therapeutic potential of a new generation B-agonist, formoterol, to attenuate muscle wasting, enhance muscle regeneration and improve function in muscle diseases*

**MARTY Isabelle**, Directeur lab. FEUERSTEIN, Grenoble, France

*Projet : Calcium release complex in skeletal muscle and associated pathologies*

**MORRIS Glenn Eric**, Directeur lab. MORRIS, Oswestry, UK

*Projet : Antibodies against the exon 6 region of MBNL1 for studies of MBNL function in myotonic dystrophy*

**PAQUIS-FLUCKLINGER Véronique**, Directeur lab. GILSON, Nice, France

*Projet : Involvement of hMSH5, a MutS homolog, in mitochondrial disorders*

**PATERLINI-BRECHOT Patrizia**, Directeur lab. PATERLINI-BRECHOT, Paris, France

*Projet : Physiopathological implication of calcium signalling alterations in Leigh's disease associated to SDHA mutation*

**PUYMIRAT Jack**, Directeur lab. PUYMIRAT, Ste Foy, Quebec, Canada

*Projet : Pathogenesis of myotonic dystrophy*

**RAMPAZZO Alessandra**, Directeur lab. RAMPAZZO, Padova, Italie

*Projet : Arrhythmogenic right ventricular cardiomyopathy : understanding molecular pathogenesis through mutations of two genes encoding desmosomal proteins*

**ROTIG Agnès**, Directeur lab. MUNNICH, Paris, France

*Projet : Identification of nuclear genes of mitochondrial disorders*

**RUEGG Urs**, Directeur lab. RUEGG, Genève, Suisse

*Projet : Role of NADPH oxidase in the pathogenesis of Duchenne muscular Dystrophy: Production and investigation of three types of NOXko/mdx mice*

**STRAUB Volker**, Directeur lab. BURN, Newcastle upon Tyne, UK

*Projet : In-vivo sarcolemmal calcium influx in muscular dystrophy cardiomyopathy: response to ACE inhibitors and beta-blockers*

**TIRET Laurent**, Directeur lab. AUBIN-HOUZELSTEIN, Maisons-Alfort, France

*Projet : Centronuclear myopathy: biochemical and functional characterization of PTPLA-deficient animal models*

**UDD Bjarne**, Directeur lab. LEHESJOKI, Helsinki, Finlande

*Projet : Tibial Muscular Dystrophy (TMD/LGMD2J) - M-line titin mutations; mouse models and translational medicine*

**VASSETZKY Yegor**, Directeur lab. WIELS, Villejuif, France

*Projet : Facio-scapulo-humeral dystrophy: from molecular mechanisms to correction of the genetic defect in immortalized myoblasts from FSHD patients*

**VERGANI Lodovica**, Directeur lab. ANGELINI, Padova, Italie

*Projet : Focus on mutant mtDNA segregation : influence of the mitochondrial dynamic, nuclear background and autophagy*

**ZEVIANI Massimo**, Directeur lab. ZEVIANI, Milan, Italie

*Projet : Therapeutic strategies for the cure of Ethylmalonic Encephalopathy, a severe infantile mitochondrial disease*

**Financements de projets - Session 2**

**AUTHIER François-Jérôme**, Directeur lab. GHERARDI, Créteil, France

*Projet : BIO-DYSFIVIG 2009 : Implication of system complement in dysferlinopathy.*

**BELAYEW Alexandra**, Directeur lab. BELAYEW, Mons, Belgique

*Projet : Suppression of DUX4 protein expression by antisense strategies*

**BENYAMIN Yves**, Directeur lab. BRAUN-BRETON, Montpellier, France

*Projet : Study of activation and translocation mechanisms of calpain 1 and 2: dynamic of interaction between domain I and VI and development of non competitive inhibitors*

**BETTO Romeo**, Directeur lab. POZZAN, Padova, Italie

*Projet : Processing of disease-causing sarcoglycan mutants*

**BROWN Susan**, Directeur lab. WELLS, Londres, UK

*Projet : Pathogenesis of muscular dystrophy due to FKRP mutations: analysis of a knock-in mutant mouse*

**BROWN Susan**, Directeur lab. WELLS, Londres, UK

*Projet : Generation of a reporter mouse for FKRP*

**CHARLET-BERGUERAND Nicolas**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Understanding the molecular causes of myotonic dystrophies*

**CONTE CAMERINO Diana**, Directeur lab. CONTE CAMERINO, Bari, Italie

*Projet : Pharmacotherapy of hereditary chloride and sodium channel myotonic disorders*

**DURBEEJ Madeleine**, Directeur lab. DURBEEJ, Lund, Suède

*Projet : Proteasome and autophagy inhibition in congenital muscular dystrophy*

**FARINA Cinthia**, Directeur lab. FARINA, Milan, Italie

*Projet : Role of neurotrophins and their receptors in human skeletal muscle*

**LACAMPAGNE Alain**, Directeur lab. RICHARD, Montpellier, France

*Projet : Cardiac and Respiratory Muscles Dysfunction in Duchenne Muscular Dystrophy : Role of ryanodine receptors and caspases*

**LAING/NOWAK Nigel/Kristen**, Directeur lab. KLINKEN, Nedlands, Australie

*Projet : Upregulation of cardiac actin to treat skeletal actin diseases.*

**LAPORTE/MANDEL Jocelyn/ Jean-Louis**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : In vivo manipulation and characterization of the myotubularin pathway implicated in myotubular myopathy*

**LOCHMULLER Hanns**, Directeur lab. BURN, Newcastle upon Tyne, UK

*Projet : Exomic sequencing to analyse an atypical glycogen storage disease of heart and skeletal muscle*

**MEOLA Giovanni**, Directeur lab. MEOLA, Milan, Italie

*Projet : Innovative therapeutic approaches to Myotonic Dystrophy Type 1 and 2*

**NICOLE Sophie**, Directeur lab. ZALC, Paris, France

*Projet : Pathophysiology of Schwartz-Jampel syndrome*

**OOMMEN Anna**, Directeur lab. OOMMEN, Tamilnadu, Inde

*Projet : Muscle cell death and protection in Dysferlinopathy: the roles of NF-kB, oxidative stress and curcumin*

**PETIT Patrice X.**, Directeur lab. MANGEOL, Paris, France

*Projet : Barth syndrome and other diseases involving cardiolipin dysfunction : defect in mitochondrial metabolism and apoptosis.*

**PLOMP Jaap**, Directeur lab. ROOS, Leiden, The Netherlands

*Projet : Neuromuscular junction function in Duchenne muscular dystrophy*

**RAYNAL Patrick**, Directeur lab. RAYNAL, Toulouse, France

*Projet : Identification of the molecular determinants of hypertrophic cardiomyopathy in leopard syndrome*

**RENDON Alvaro**, Directeur lab. SAHEL, Paris, France

*Projet : Modulating Angiogenesis in Ocular and Muscular Systems: A new Role for Dystrophin Dp71*

**ROYET Julien**, Directeur lab. ROUGON, Marseille, France

*Projet : Functional analysis of a novel regulator of Mitochondria fission.*

**RUEGG Urs**, Directeur lab. RUEGG, Genève, Suisse

*Projet : Estrogen receptors in dystrophic muscle: expression, function and contribution to tamoxifen effects*

**RUEGG Markus Andreas**, Directeur lab. RUEGG, Bâle, Suisse

*Projet : The role of the mTOR complex 1 for the homeostasis of skeletal muscle and body mass*

**SCHMIDT Jens**, Directeur lab. FLUGEL, Göttingen, Allemagne

*Projet : Inflammatory cell-stress and its implications for accumulation of B-amyloid in skeletal muscle*

**SERGEANT/GOURDON Nicolas/Geneviève**, Directeur lab. BUEE, Lille, France

*Projet : Modelling Neurofibrillary Degeneration and Rescue of the Phenotype in Myotonic Dystrophy*

**SINNREICH Michael**, Directeur lab. SINNREICH, Bâle, Suisse

*Projet : The dysferlin Interactome - Implications for therapeutic Strategies*

**VASSETZKY Yegor**, Directeur lab. WEILS, Villejuif, France

*Projet : D4Z4 proteome in Facioscapulohumeral dystrophy*

**WALLGREN-PETTERSSON Carina**, Directeur lab. LEHESJOKI, Helsinki, Finlande

*Projet : Molecular mechanisms, diagnostic methods and working towards therapy for nemaline myopathy and related disorders*

**WESTERBLAD Hakan**, Directeur lab. FREDHOLM, Stockholm, Suède

*Projet : Mechanisms of mitochondrial myopathy studied in mouse and human muscle*

**XUE Zhigang**, Directeur lab. FRIGUET, Paris, France

*Projet : Functions of synemin isoforms in neuromuscular diseases: Conditional inactivation of synemin gene*

### Groupe 3 : Système nerveux : Motoneurone et jonction neuro-musculaire

#### Aides aux jeunes chercheurs - Session 1

**ANTRI Myriam**, Directeur lab. CAZAETS, Bordeaux, France

*Projet : Long-term potentiation of ventrolateral funiculus transmission to spinal lumbar motoneurons*

**ARNAUD Estelle**, Directeur lab. CHRAST, Lausanne, Suisse

*Projet : Role of Sh3tc2, the gene mutated in Charcot-Marie-Tooth 4C, in assembly and/or maintenance of the structure of the node of Ranvier*

**ASSOUM Mirna**, Directeur lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Characterization of a novel gene mutated in autosomal recessive ataxia*

**AUBREY Karin**, Directeur lab. BARBOUR, Paris, France

*Projet : Analysis of the plasticity of inhibitory phenotypes at spinal cord synapses*

**FASSIER Coralie**, Directeur lab. GIROS, Paris, France

*Projet : The BMP signalling pathway in spinal motor axon architecture: functional analyses of Spastin and Alsin in the developing zebrafish*

**GAMAL Karim**, Directeur lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet : Cellular and molecular basis for persistence of dorsal GFAP+ neural stem in the adult spinal cord central canal niche*

**SADLAOUD Karina**, Directeur lab. VINAY, Marseille, France

*Projet : Mechanisms underlying spasticity: alterations of the neural network and inhibitory synaptic transmission*

**SALVI Julie**, Directeur lab. BOCKAERT, Montpellier, France

*Projet : Pathogenic mechanisms of Cav2.1 calcium channel associated Ataxia and potential therapy approaches*

**SIGOILLOT Séverine**, Directeur lab. LEGAY, Paris, France

*Projet : ColQ and the extracellular matrix at the neuromuscular junction*

**THIBAUD Julie**, Directeur lab. BARON-VAN EVERCOOREN, Paris, France

*Projet : In vitro and in vivo characterization of potential cells from the peripheral nervous system: the Boundary Cap Cells*

### **Aides aux jeunes chercheurs - Session 2**

**BANGRATZ Marie**, Directeur lab. ZALC, Paris, France

*Projet : Study of the peripheral nervous system in the mouse model of Schwartz-Jampel Syndrome.*

**BELIN Sophie**, Directeur lab. BOLINO, Milan, Italie

*Projet : Molecular mechanisms of myelin biogenesis in inherited peripheral neuropathies*

**BELLOUZE Sarah**, Directeur lab. VINAY, Marseille, France

*Projet : Golgi pathology in motor neuron disease : molecular mechanisms and cellular consequences.*

**BERNARD Nathalie**, Directeur lab. REPRESA, Marseille, France

*Projet : Is calreticulin a therapeutic target in mSOD1-linked ALS motoneurons*

**BERTAZZI Dimitri**, Directeur lab. POTIER, Strasbourg, France

*Projet : Analysis of cellular mechanisms leading to neurodegenerative diseases in the yeast S. cerevisiae model*

**BERZSENYI Sara**, Directeur lab. GIANGRANDE, Strasbourg, France

*Projet : Molecular pathways underlying migration of glial cells*

**FRITAH Asmaa**, Directeur lab. SCHAEFFER, Lyon, France

*Projet : Role of histone demethylases at the neuromuscular junction and in muscle*

**IGLESIAS Caroline**, Directeur lab. MEUNIER, Paris, France

*Projet : Does hyperexcitability accounts for spinal motoneurone selective vulnerability in ALS?*

**JACQUIER Arnaud**, Directeur lab. PRZEDBORSKI, New York, USA

*Projet : Characterization of an in vitro model of motor neuron degeneration in spinal muscular atrophy*

**JOCHUM Tobias**, Directeur lab. CATO, Eggenstein, Leopoldshafen, Allemagne

*Projet : Structure and toxicity of pathologic oligomers in Spinal Bulbar Muscular Atrophy (SBMA)*

**RENIER Nicolas**, Directeur lab. CHEDOTAL, Paris, France

*Projet : Robo3 : a new genetic tool to study human sensory-motor pathologies.*

**SANCHEZ Gabriel**, Directeur lab. COTE, Ottawa, Ontario, Canada

*Projet : Role of SMN in cotranscriptional alternative splicing in SMA motoneurons and skeletal muscles.*

**SCHMITT Florent**, Directeur lab. LOEFFLER, Strasbourg, France

*Projet : Role of Lipid Metabolism in ALS and motor neuron survival*

**VAN STEENWINCKEL Juliette**, Directeur lab. POHL, Paris, France

*Projet : Implication of chemokine CCL2/CCR2 system in spinal alterations and plasticity associated with pathological pain.*

#### **Financements de projets Tremplins - Session 1**

**HOLTTA-VUORI Maarit**, Directeur Lab. IKONEN, Helsinki, Finlande

*Projet : Role of lipid imbalance in hereditary spastic paraplegia*

#### **Financements de projets Tremplins - Session 2**

**LOMONTE Patrick**, Directeur Lab. COUBLE, Villeurbanne, France

*Projet : Analysis of a chromatin-dependent targeting of the Spinal Motor Neurone (SMN) protein at damaged centromeres.*

**MORISSET Séverine**, Directeur Lab. BELOEIL, Orleans, France

*Projet : Identification of lingo-1 antagonists for the treatment of neurodegenerative diseases.*

**PORTA Silvia**, Directeur Lab. FERRER, Barcelone, Espagne

*Projet : Role of TDP-43 miRNA biogenesis and RNA splicing processes. A possible pathogenic mechanism in neuromuscular diseases*

**STROCHLIC Laure**, Directeur Lab. VIDAL, Paris, France

*Projet : The role of Wnt proteins in Neuromuscular Junction formation.*

#### **Financements de projets - Session 1**

**BESSEREAU Jean-Louis**, Directeur Lab. TRILLER, Paris, France

*Projet : Analysis of acetylcholine receptor regulators using the model system Caenorhabditis elegans*

**BLOCH-GALLEGO Evelyne**, Directeur Lab. DAEGELEN, Paris, France

*Projet : Role of CLIPR-59, a Golgi-microtubule linker protein, in the organization and maintenance of hindbrain motoneurons*

**CHRISTADOSS Premkumar**, Directeur Lab. CHRISTADOSS, Galveston, Texas, USA

*Projet : Treating Myasthenia Gravis by inhibiting the Classical Complement Pathway*

**COURAUD François**, Directeur Lab. GIROS, Paris, France

*Projet : Molecular Basis of spinal motoneurone excitability*

**DAGA Andrea**, Directeur Lab. DAGA, Padova, Italie

*Projet : Modelling the role of Atlastin in physiology and HSP motor pathology*

**DEMENEIX Barbara**, Directeur Lab. DEMENEIX, Paris, France

*Projet : Gene networks underlying thyroid hormone control of Neural Stem Cell proliferation*

**DEVAUX Jerome**, Directeur Lab. ENJALBERT, Marseille, France

*Projet : The role of antibodies against proteins of the node of Ranvier in the pathogenesis of Guillain-Barré syndrome: finding novel immune targets.*

**EYER Joel**, Directeur Lab. EYER, Angers, France

*Projet : Role of neurofilaments in the neuro-cytoskeletal dynamic and the axo-glial relations*

**GAIDDON Christian**, Directeur Lab. LOEFFLER, Strasbourg, France

*Projet : Role of the p53 family in the muscles and the neuro-muscular junctions affected by Amyotrophic Lateral Sclerosis*

**GRONER Yoram**, Directeur Lab. GRONER, Rehovot, Israel

*Projet : Runx3 transcription factor deficiency and neuropathy associated muscular atrophy*

**GROYER Ghislaine**, Directeur Lab. SCHUMACHER, Le Kremlin-Bicêtre, France

*Projet : Translocator Protein (TSPO) ligand in improvement of peripheral nerve regeneration, immunomodulation and pain*

**HUGNOT Jean-Philippe**, Directeur Lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet : Characterization of Sox2+ and proliferative cells in the human and mouse spinal cord*

**IBRAHIM El Cherif**, Directeur Lab. KHRESTATCHISKY, Marseille, France

*Projet : Understanding exon skipping to cure familial dysautonomia*

**LE PANSE-RUSKONE/BERRIH-AKNIN Rozen/Sonia**, Directeur Lab. BERRIH-AKNIN, Le

Plessis-Robinson, France

*Projet : Pathophysiological mechanisms leading to thymic hyperplasia in Myasthenia Gravis*

**LEGAY Claire**, Directeur Lab. LEGAY, Paris, France

*Projet : ColQ and the post-transcriptional regulation of synaptic mRNAs in congenital myasthenic syndromes*

**LEGAY Claire**, Directeur Lab. LEGAY, Paris, France

*Projet : Signaling functions of ColQ, a specific collagen, at the neuromuscular junction: implications for congenital myasthenia with Acetylcholinesterase deficiency*

**LINGUEGLIA/DEVAL Eric/Emmanuel**, Directeur Lab. BARBRY, Valbonne, France

*Projet : Acid Sensing Ion Channels (ASICs) in muscle pain*

**ROBBERECHT Wim**, Directeur Lab. ROBBERECHT, Leuven, Belgique

*Projet : Tubulin acetylation in motor neuron degeneration a translational approach*

**SCAMPS Frédérique**, Directeur Lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet : Mechanotransduction, chloride channels and peripheral nerve regeneration*

**SORET Johann**, Directeur Lab. BLANCHARD, Montpellier, France

*Projet : Splicing alterations and/or defects in mRNA trafficking?*

**SUPPLISSON Stéphane**, Directeur Lab. BARBOUR, Paris, France

*Projet : The recycling and refilling of synaptic vesicles with glycine and GABA in inhibitory interneurons*

**VAN DEN BOSCH Ludo**, Directeur Lab. ROBBERECHT, Leuven, Belgique

*Projet : Functional analysis of small heat shock protein 27(HSP27) Mutations in relation to motor neuropathies*

#### Financements de projets - Session 2

**BOLINO Alessandra**, Directeur Lab. SAVI, Milano, Italie

*Projet : Restoring endosomal dynamics to rescue CMT neuropathies due to phospholipid homeostasis impairment*

**CHARNAY Patrick**, Directeur Lab. TRILLER, Paris, France

*Projet : Molecular genetics of peripheral glia.*

- DE BAETS/MARTINEZ Marc/Pilar**, Directeur Lab. DE BAETS, Maastricht, The Netherlands  
*Projet : Role of the central anchoring protein rapsyn in Myasthenia gravis and its experimental animal model*
- GALLI Thierry**, Directeur Lab. GALLI, Paris, France  
*Projet : Vesicular trafficking in neurite outgrowth and hereditary spastic paraplegia*
- GOIZET Cyril**, Directeur Lab. ARVEILER, Bordeaux, France  
*Projet : Genetic and functional analyses of hereditary spastic paraplegia caused by lipid gene mutations*
- GRASSI Francesca**, Directeur Lab. NENCINI, Roma, Italie  
*Projet : A novel strategy to limit cytotoxic calcium influx in slow-channel congenital myasthenic syndrome*
- HANTAI Daniel**, Directeur Lab. ZALC, Paris, France  
*Projet : Mutations in agrin cause congenital myasthenia and reveal new functions of the encoded protein*
- HOULDEN Henry**, Directeur Lab. WOOD, Londres, UK  
*Projet : Genetic and functional characterisation of hereditary motor neuropathy (HMN)*
- LOCHMULLER Hanns**, Directeur Lab. LOCHMULLER, Newcastle upon Tyne, UK  
*Projet : Characterisation of the Dok-7 protein at the neuromuscular junction*
- LOEFFLER Jean-Philippe**, Directeur Lab. LOEFFLER, Strasbourg, France  
*Projet : Mechanism underlying motor neuron degeneration through muscle mitochondrial uncoupling*
- MARTINS Alexandra**, Directeur Lab. FREBOURG, Rouen, France  
*Projet : Evaluation of the contribution of SMN1 and SMN2 sequence variants to the clinical severity of SMA*
- MILLECamps Stéphanie**, Directeur Lab. ZALC, Paris, France  
*Projet : Genetics of familial amyotrophic lateral sclerosis.*
- MUSCATELLI Françoise**, Directeur Lab. REPRESA, Marseille, France  
*Projet : Dissection of Necdin function in embryonic Motoneurons: a new player in the cell Death pathway*
- NARGEOT Joel**, Directeur Lab. BOCKAERT, Montpellier, France  
*Projet : Anysis of the role of T\_type calcium channels in muscle pain: search for specific blockers of therapeutic interest*
- PEREIRA DE ALMEIDA Luis**, Directeur Lab. EUCLIDES, Coimbra, Portugal  
*Projet : Role of the autophagy-related protein Beclin-1 in Machado-Joseph disease*
- SCHAEFFER Laurent**, Directeur Lab. SCHAEFFER, Lyon, France  
*Projet : Neuronal control of chromatin at the neuromuscular junction and in the other compartments of skeletal muscle*
- SCORRANO Luca**, Directeur Lab. SCORRANO, Genève, France  
*Projet : The role of ER-mitochondria tethering in the pathogenesis of Charcot-Marie-Tooth IIa.*
- SORARU Gianni**, Directeur Lab. ANGELINI, Padova, Italie  
*Projet : Skeletal muscle involvment in spinal and bulbar muscular atrophy (SBMA)*
- TRIFILIEFF Elisabeth**, Directeur lab. KELCHE, Strasbourg, France  
*Projet : Development and characterization of animal models for Guillain-Barré Syndrome (GBS) and Chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy (CIDP)*
- TZARTOS Socrates**, Directeur Lab. TZARTOS, Athenes, France  
*Projet : Pentameric ACh receptor extracellular domain for efficient autoantibody depletion in Myasthenia gravis*
- VALAYANNOPOULOS Vassili**, Directeur Lab. MUNNICH, Paris, France  
*Projet : Molecular and biochemical modelisation of the cerebral transporter of creatine*

**ZYTNICKI Daniel**, Directeur Lab. MEUNIER, Paris, France

*Projet : Electrophysiological properties of spinal motoneurons in mouse models of SMA and ALS*

#### **Groupe 4 : Thérapies cellulaire et génique**

##### **Aides aux jeunes chercheurs - Session 1**

**BRADFORD Stephen**, Directeur Lab. SCHEDL, Nice, France

*Projet : Evaluating PEC activation during glomerular repair and their use in cell replacement therapies*

**BUCHER Thomas**, Directeur Lab. MOULLIER, Nantes, France

*Projet : AAV9-mediated gene transfer in the spinal cord of a feline SMA model*

**COCHONNEAU Stéphanie**, Directeur Lab. BLANCHARD, Montpellier, France

*Projet : T cell reconstitution by intrathymic delivery of hematopoietic stem cells*

**CORBINEAU Sébastien**, Directeur Lab. UZAN, Le Kremlin-Bicêtre, France

*Projet : Ex vivo lentiviral mediated gene transfer into LDLR-/ patient and non-human primate iPSC-derived hepatic progenitors*

**GIDARO Teresa**, Directeur Lab. MASSIMILIANO, Rome, Italie

*Projet : Development of mesoangioblasts-based muscle regenerative therapy for Inclusion-Body Myositis*

**MALICDAN May Christine**, Directeur Lab. NISHINO, Kodaira, Tokyo, Japon

*Projet : Novel approach to sialic acid therapy in DMRV/hIBM mouse model*

**MELENDEZ Matias**, Directeur Lab. COUBLE, Villeurbanne, France

*Projet : Site-specific excision-dependent (SED) vectors. A novel concept in herpes simplex virus type-1-based gene transfer vectors*

**RAGON Isabelle**, Directeur Lab. KLATZMANN, Paris, France

*Projet : Improved lentiviral vectors for intrathymic gene transfer application*

**SARZI-CAMPILLO Emmanuelle**, Directeur Lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet : Gene therapy for dominant optic neuropathies*

**TAIB Nada**, Directeur Lab. TOULME , Bordeaux, France

*Projet : Nucleoside Amphiphiles for intracellular Delivery of Antisenses*

##### **Aides aux jeunes chercheurs - Session 2**

**AEBISCHER Julianne**, Directeur Lab. RAOUL, Marseille, France

*Projet : Gene therapy-based inhibition of pro-inflammatory and death signalling in ALS mice.*

**MANIC Gwenola**, Directeur Lab. MOUSCADET, Cachan, France

*Projet : Impact of retroviral vector design and DNA repair machinery in transgene expression*

**NIEMIR Natalia**, Directeur Lab. COURAUD, Paris, France

*Projet : Gene transfer in the Sandhoff mouse model using a specific recombinant AAV9 vector*

**ROY Elise**, Directeur Lab. HEARD , Paris, France

*Projet : Gene therapy and recovery of brain plasticity in mucopolysaccharidosis*

## Financements de projets Tremplins - Session 1

**WOOD Matthew**, Directeur Lab. DAVIES, Oxford, UK

*Projet :* Targeting the myostatin pathway with a novel RNA-based therapy for DMD

## Financements de projets - Session 1

**BIGOT Yves**, Directeur Lab. BIGOT, Tours, France

*Projet :* Evaluating and engineering the specificity of non-viral vectors integrating within the chromosomal regions encoding the ribosomal RNA

**BLOT Stephane**, Directeur Lab. BLOT, Maisons-Alfort, France

*Projet :* In vivo tracking of mesoangioblasts in dystrophin-deficient dog: methodological development

**CARMELIET Peter**, Directeur Lab. CARMELIET, Leuven, Belgique

*Projet :* Evaluation of the safety profile of viral VEGF-B gene transfer for ALS

**CHUAH Marinee**, Directeur Lab. CARMELIET, Bruxelles, Belgique

*Projet :* Generation and functional correction dystrophic patient-specific induced pluripotent stem cells

**DANOS Olivier**, Directeur Lab. MUNNICH, Paris, France

*Projet :* Viral vectors for safe and efficient gene targeting with engineered meganucleases

**DUBART-KUPPERSCHMITT Anne**, Directeur Lab. UZAN, Le Kremlin-Bicêtre, France

*Projet :* A new approach for cell/gene therapy of Hemophilia B

**FERRY Nicolas**, Directeur Lab. FERRY, Nantes, France

*Projet :* Gene therapy of liver diseases using lentiviral vectors : improvement of delivery strategies

**GOUYA Laurent**, Directeur Lab. BEAUMONT, Paris, France

*Projet :* Antisense oligonucleotide therapeutic strategy adapted to Erythropoietic Protoporphoryria

**LAGRESLE-PEYROU Chantal**, Directeur Lab. FISCHER, Paris, France

*Projet :* Preclinical development of gene therapy of hereditary immune disorders

**LENAERS Guy**, Directeur Lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet :* Gene therapy for dominant optic neuropathies

**SAMULSKI Richard Jude**, Directeur Lab. SAMULSKI, Chapell Hill, NC, USA

*Projet :* Universal Packaging Cell Lines for Scalable GMP Production of AAV Vectors

**SCHUMPERLI Daniel**, Directeur Lab. SCHUMPERLI, Bern, Suisse

*Projet :* Gene therapy for spinal muscular atrophy by a correction of SMN2 mRNA splicing

**TETI Anna Maria**, Directeur Lab. TETI, L'Aquila, Italie

*Projet :* Experimental bio-implant strategy to cure osteoclast-poor osteopetrosis due to RANKL ablation

**WEBER Anne**, Directeur Lab. UZAN, Le Kremlin-Bicêtre, France

*Projet :* Preclinical model of ex vivo gene therapy in macaque with induced pluripotent stem cell-derived hepatic progenitors

## Financements de projets - Session 2

**BOUVAGNET Patrice**, Directeur Lab. RUBEL, Bron, France

*Projet :* Mouse in vivo gene therapy for Primary Ciliary Dyskinesia

**BOYER Olivier**, Directeur Lab. BOYER, Rouen, france

*Projet : Gene transfer of PD-L1 for tolerization toward transgenes in the context of muscle gene therapy*

**BUNING Hildgard**, Directeur Lab. HALLEK, Cologne, Allemagne

*Projet : Host interaction with caspid modified rAAV vectors*

**DI IORIO Enzo**, Directeur Lab. PONZIN , Zelarino, Italie

*Projet : Towards an innovative therapy of Ectrodactyly-ectodermal dysplasia-Clefting syndrome using allele-specific RNA silencing*

**EPSTEIN Alberto**, Directeur Lab. COUBLE, Villeurbanne, France

*Projet : Site-specific Excision - Dependent (SED) vectors A novel concept in HSV - 1 based gene transfer vectors*

**EZINE Sophie**, Directeur Lab. ROCHA, Paris, France

*Projet : Molecular Characterization of T cell Engagement*

**HANDSCHIN Christoph**, Directeur Lab. HANDSCHIN, Bâle, Suisse

*Projet : Therapeutic modulation of PGC-1 gene expression with muscle-specific adeno-associated viral vector*

**KALATZIS Vasiliki**, Directeur Lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet : Gene therapy of retinal dystrophies using human models*

**LAMBERT Virginie**, Directeur Lab. HUMBERT, le Plessis-Robinson, France

*Projet : Effect of cell therapy by cardiac progenitors in right ventricular failure secondary to chronic overload*

**LARGHERO Jerome**, Directeur Lab. LARGHERO, Paris, France

*Projet : Transplantation of human embryonic stem cell-derived cardiac progenitors for the treatment of end-stage heart failure*

**MOULLIER Philippe**, Directeur Lab. MOULLIER, Nantes, France

*Projet : In vivo epigenetic modifications associated with adeno-associated vector genomes in skeletal muscle*

**NGUYEN Tuan Huy**, Directeur Lab. FERRY, Nantes, France

*Projet : In vivo gene therapy of Crigler-Najjar using non integrative lentiviral vectors*

**RYFFEL Bernhard**, Directeur Lab. QUESNIAUX, Orleans, France

*Projet : Role of innate immune recognition for humoral and cellular immune responses to rAAV1 vectors in mice*

**SAHEL Jose-Alain**, Directeur Lab. SAHEL, Paris, France

*Projet : Trans-splicing of rhodopsin mRNA modeling and therapeutic strategy for retinitis pigmentosa*

**SOUROUJON Miriam**, Directeur Lab. SOUROUJON, Raanana, Israel

*Projet : Involvement and therapeutic potential of T regulatory cells in Myasthenia gravis : Studies in EAMG*

**TAYLOR/KLATZMANN Naomi/David**, Directeur Lab. BLANCHARD, Montpellier, France

*Projet : Intrathymic vector targeting for gene therapy of ZAP-70 deficiency*

**VANDENDRIESEN Thierry**, Directeur Lab. CARMELIET, Leuven, Belgique

*Projet : Hepatic gene therapy for hemophilia using integration-defective lentiviral vectors: effect of miRNA regulation in induction of immune tolerance*

**ZIMMERMANN/TAYLOR Valérie/Naomi**, Directeur Lab. BLANCHARD, Montpellier, France

*Projet : Intrathymic delivery of hematopoietic stem cells for T cell reconstitution*

## Groupe 5 : Recherche Translationnelle

### **Financements de projets Tremplins - Session 1**

**DIDONATO Christine J.**, Directeur Lab. DIDONATO, Chicago, IL, USA

*Projet :* Identification of surrogate markers for SMA

### **Financements de projets Tremplins - Session 2**

**CEBALLOS-PICOT Irene**, Directeur Lab. RICQUIER, Paris, France

*Projet :* Search for a Therapy of Lesch-Nyhan Disease and its Neuromuscular Variants

### **Financements de projets - Session 1**

**KARADUMAN Ayse A.**, Directeur Lab. PERIHAN, Ankara, Turquie

*Projet :* Creation of databases for Duchenne Muscular Dystrophy and Spinal Muscular Atrophy in Turkey

**SEAGAR Michael**, Directeur Lab. SEAGAR, Marseille, France

*Projet :* Novel assays for ion channel auto-antibodies in neuromuscular and neurological diseases

**VIVILLE Stéphane**, Directeur Lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet :* Human pluripotent stem cells as new models for development of new therapies and exploration of mechanisms in monogenic diseases, part II

### **Financements de projets - Session 2**

**LUNDBERG Ingrid E.**, Directeur Lab. KLARESKOG, Stockholm, Suède

*Projet :* Development of functional biomarkers in a European network for inflammatory myopathies EUMYONET

**ROSE Mickael**, Directeur Lab. CHAUDHURY, Londres, UK

*Projet :* A systematic review of functional outcome measures applicable to adult muscle disease

**SACCONI Sabrina**, Directeur Lab. DESNUELLE, Nice, France

*Projet :* French National FSHD patient registry for clinical trial planning and translational research

**SEREDA Mickael**, Directeur Lab. NAVÉ, Göttingen, Allemagne

*Projet :* Validation of prognostic and disease biomarkers for Charcot-Marie-Tooth disease 1A

**T HOEN/NADARAJAH Peter/ Vishna**, Directeur Lab. DEN DUNNEN, Leiden, The Netherlands

*Projet :* Identification of serum biomarkers for monitoring progression and early corticosteroid effect in Duchenne Muscular Dystrophy

## Groupe 6 : Pharmacologie des Maladies Neuromusculaires

### **Aides aux jeunes chercheurs - Session 2**

**BASILE Ilaria**, Directeur Lab. PELEGREN, Montpellier, France

*Projet :* Neoglycoenzymes as a new enzyme replacement therapy

## Financements de projets - Session 2

**BENDAHAN David**, Directeur Lab. COZZONE, Marseille, France

*Projet : The effect of Activin receptor IIb blockade on muscle function, morphology and metabolism in control and dystrophic mdx mice*

**GARCIA Marcel**, Directeur Lab. PELEGRIIN, Montpellier, France

*Projet : Neoglycoenzymes as a new enzyme recombinant therapy.*

**LYNCH Gordon**, Directeur Lab. LYNCH, Victoria, Australie

*Projet : Optimizing the therapeutic potential of formoterol for muscular dystrophy and related muscle wasting diseases.*

**VAN DEN EYNDE Jean-Jacques**, Directeur Lab. VAN DEN EYNDE, Mons, Belgique

*Projet : Bisbenzamidines as novel potential drug candidates for the treatment of myotonic dystrophy*

**WELLS Dominic**, Directeur Lab. WELLS, Londres, UK

*Projet : Assessing metformin and trehalose as therapies for Amyotrophic Lateral Sclerosis*

## Groupe 7 : Commission Clinique

### Aides aux jeunes chercheurs - Session 1

**BACHASSON Damien**, Directeur Lab. WUYAM, Echirolles, France

*Projet : Respiratory muscle training in Steinert disease: a pilot study*

### Financements de projets Tremplins - Session 1

**CHOUINARD Maud-Christine**, Directeur Lab. MATHIEU, Jonquière, Quebec, Canada

*Projet : Improving service organization for individuals with myotonic dystrophy: Implementation of a nurse case manager*

### Financements de projets - Session 1

**HUG François**, Directeur Lab. CORNU, Nantes, France

*Projet : An innovative tool to assess muscle function of healthy and pathological subjects*

### Financements de projets - Session 2

**BOYER François**, Directeur Lab. JOLLY, Reims, France

*Projet : Quality of life measures in persons affected by neuromuscular diseases: scale construction and authentication*

**NARDI Julie**, Directeur Lab. LOFASO, Garches, France

*Projet : Patient / ventilator asynchrony and leaks in DMD patients during sleep*

## 2/ AUTRES APPELS D'OFFRES

### Appel d'offres SMA Europe

#### Financements de projets

**SCHWERENZ Inge**, Directeur Lab. SCHWERENZ, Ashaffenburg, Allemagne

*Projet : Projet d'analyse de Rasch des échelles de mesures fonctionnelles pour les patients SMA*

### Appel d'offres Décrypthon

#### Financements de projets

**POCH Olivier**, Directeur Lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Decrypthon Data Center and KnowledgeBase for Myopathies (DDC/KBM)*

## 3/ AUTRES TYPES DE FINANCEMENTS

### A/ Pôles stratégiques

**LEVY Nicolas**, Directeur Lab. LEVY, Marseille, France

*Projet : Genomics, pathophysiology and therapeutic approaches in a panel of rare genetics diseases mainly affecting muscle, heart & nervous system*

**MOULLIER Philippe**, Directeur Lab. MOULLIER, Nantes, France

*Projet : Unité INSERM 649 - CHU Nantes : Centre de Production de Vecteurs et Projets de Recherche*

**POURQUIE Olivier**, Directeur Lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : AFM-IGBMC Partnership*

### B/ Projets stratégiques

**BEUZARD Yves**, Directeur Lab. BEUZARD, Paris, France

*Projet : Gene therapy for the treatment of hemoglobinopathies*

**BISCHOFF Serge/RHENOVIA**, Directeur Lab. BISCHOFF, Mulhouse, France

*Projet : To develop and validate a multisynapse plateform to be used for research and translational studies and to design it for expansion to rare diseases*

**FERRY Nicolas**, Directeur Lab. FERRY, Nantes, France

*Projet : Gene therapy clinical trial for Crigler Najjar type 1 disease*

**HOVNANIAN Alain**, Directeur Lab. MUNNICH, Paris, France

*Projet : Meganuclease-based therapy for dystrophic epidermolysis bullosa*

**LEHN Pierre**, Directeur Lab. FEREC, Brest, France

*Projet : DNA-Nanoparticles for skeletal muscle and airway epithelium in vivo gene therapy*

**POURQUIE Olivier**, Directeur Lab. POURQUIE, Illkirch, France

*Projet : Differentiating ES Cells or Induced Pluripotent Cells into Skeletal Muscle as Therapy for Muscular Dystrophies*

**PROSENSA/DOCHEZ Luc**, Directeur Lab. DOCHEZ, Leiden, The Netherlands

*Projet : Accelerated development of three clinical candidates into Phase I/II studies for the treatment of selected patient populations in Duchenne Muscular Dystrophy*

**PUYMIRAT Jack**, Directeur Lab. PUYMIRAT, Ste Foy, Quebec, Canada

*Projet : Preclinical evaluation of a gene therapy for myotonic dystrophy*

**RICHARD Isabelle**, Directeur Lab. RICHARD, Evry, France

*Projet : Mannosidase Inhibition in sarcoglycanopathies : Kifunensine (Mannosidase I inhibitor) for the treatment of sarcoglycanopathies (diseases resulting from mutations in any of the four sarcoglycan genes)*

**ROLLING Fabienne**, Directeur Lab. MOULLIER, Nantes, France

*Projet : Phase 1/2 clinical gene therapy protocol for the treatment of retinal dystrophy caused by defects in RPE65*

**SIMONELIG Martine**, Directeur Lab. BUCHETON, Montpellier, France

*Projet : Pathophysiology and therapeutic approaches in Oculopharyngeal Muscular Dystrophy (OPMD)*

**TROPHOS**, Directeur Lab. MARRON, Marseille, France

*Projet : Programme de recherche de molécules pour le traitement des ASI. Budget 2010*

**WOOD/MUNTONI Matthew/Francesco**, Directeur Lab. DAVIES, Oxford, UK

*Projet : Advances in oligonucleotide-mediated exon skipping for DMD and related disorders*

#### **C/ Plateformes stratégiques**

**CIC GARCHES/ANNANE**, Garches, France

*Projet : Financement de la 2ème année du CIC Innovation Technologique de Garches*

**CIC HENRI-MONDOR**, Créteil, France

*Projet : Financement 2ème année CIC Biothérapie Henri-Mondor*

**CIC LILLE/GOTTRAND**, Lille, France

*Projet : Financement de la 3ème année du CIC Pédiatrique de Lille*

**CIC NANTES/GUSTIN**, Nantes, France

*Projet : Financement 2ème année CIC Biothérapie de Nantes - 2e année*

**CIC NECKER/CAVAZZANA-CALVO**, Paris, France

*Projet : Financement de la 2ème année du CIC Biothérapies de Necker*

**CIC SAINT-LOUIS/BENBUNAN**, Directeur Lab. BENBUNAN, Paris, France

*Projet : Financement de la 2ème année du CIC Biothérapies de Saint-Louis*

**ENVA/BLOT Stéphane**, Directeur Lab. BLOT, Maisons-Alfort, France

*Projet : Financement 2010 des projets menés par S. Blot à l'ENVA*

**ENVN/BOISBORNE**, Directeur Lab. SAI, Nantes, France

*Projet : Financement des projets menés au Centre de Boisbonne - Financement 2010*

#### **D/ Outils stratégiques**

**HUMBERTCLAUDE Véronique**, Directeur Lab. CLAUSTRES, Montpellier, France

*Projet : Développement du module clinique des Banques de Données génétiques et cliniques dédiées aux maladies neuro-musculaires*

**RUTKOWSKI Anne**, Directeur Lab. RUTKOWSKI, Olathe, Kansas, USA

*Projet : CMDIR database*

## **E/ Structures stratégiques**

**GIS MALADIES RARES**, Paris, France

*Projet : Dotation au GIS-Maladies Rares pour l'année 2010*

**IMAGINE FONDATION/GRISCELLI**, Directeur Lab. GRISCELLI, Paris, France

*Projet : Aide exceptionnelle Dotation Fondation IMAGINE*

**MOULLIER Philippe**, Directeur Lab. MOULLIER, Nantes, France

*Projet : Financement de l'équipement de l'ABG (Atlantic Bio GMP)*

## **F/ Partenariats institutionnels**

**EQUIPE AVENIR/RAOUL Cédric**, Paris, France

*Projet : Prolongation financement projet Avenir*

**EQUIPE AVENIR/TRICAUD Nicolas**, Directeur Lab. HAMEL, Montpellier, France

*Projet : Molecular mechanisms of myelination/demyelination and gene therapy in the peripheral nervous system*

## **G/ Partenariats associatifs**

**ASSOCIATION RETINA FRANCE**, Colomiers, France

*Financement des projets 2010 de l'Association*

**INSTITUT DE RECHERCHE SUR LA MOELLE EPINIERE**, Paris, France

*Financement des projets 2010 de l'Institut*

**VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE**, Paris, France

*Financement des projets 2010 de l'Association*

## **H/ Projets soumis en dehors de l'appel d'offres**

**AUTHIER François-Jérôme**, Directeur Lab. GHERARDI, Créteil, France

*Projet : BIO-DISFIVIG : Implantation of system complement in dysferlinopathy*

**JAFFREDO Thierry**, Directeur Lab. JESSUS, Paris, France

*Projet : Exploration de la diversité des cellules souches et de leurs niches à l'aide de la microdissection laser*

**MELKI Judith**, Directeur Lab. SCHUMACHER, Le Kremlin-Bicêtre, France

*Projet : Combined genomic and transcriptomic of motor neuron diseases*

**MOULY/AUTRAN Vincent/Brigitte**, Directeur Lab. BUTLER-BROWNE, Paris, France

*Projet : Financement d'un trieur de cellules, en co-financement avec le DIM STEM-Pôle*

**PINES Mark**, Directeur Lab. PINES, Bet Dagan, Israel

*Projet : Validation of the efficacy of halofuginone and its general role in muscle dystrophy*

**ROUGER/CHEREL Karl/Yan**, Directeur Lab. CHEREL, Nantes, France

*Projet : Cell therapy of GRMD dogs through intra-arterial delivery of Muscle Stem Cells "Acronym MuStem"*

**RUEGG Urs**, Directeur Lab. RUEGG, Genève, Suisse

*Projet : Essai pré-clinique sur le traitement de la myopathie de Duchenne par le tamoxifène*

**VIOLET Louis**, Directeur Lab. SWOBODA, Salt Lake City, Utah, USA

*Projet : Genetic study of autosomal recessive chronic distal Spinal Muscular Atrophy*

## I/ Manifestations scientifiques

**BACH Jean-François**, Paris, France

Colloque international "Cellules souches : nouveaux développements et perspectives", organisé le 1er juin 2010 au Palais de l'Institut de France

**COHEN-HAGUENAUER Odile**, Cachan, France

Congrès "Gene Transfer and Therapy: state of the art and eCHIPS - European Conference on human iPS" (GTeCHiPS), organisé du 7 au 9 avril 2011 à Paris

**EGLY Jean-Marc**, Illkirch, France

Symposium scientifique intitulé "Starting from Transcription" en l'honneur du Pr Pierre Chambon, organisé à Illkirch du 24 au 25 juin 2011

**GALLI Thierry**, Paris, France

Jubilé de Jean Cartaud "Une vie à la synapse", organisé le 17 juin 2011 à l'Institut Jacques Monod, Paris

**JAFFREDO Thierry**, Paris, France

Congrès inaugural du réseau "UPMC Stem Cell Initiative (USCI)" organisé du 16 au 17 décembre 2010 à l'UPMC, Paris

**MEOLA Giovanni**, Milan, Italie

2nd Workshop "Cerebral Involvement in Myotonic Dystrophy type I and II" in Paris, from 25 to 26 November 2010

**NONAKA Ikuya**, Tokyo, Japon

15th International Congress of the World Muscle Society, in Kumamoto, Japon, from 12th to 16th October 2010

**PEREZ Daniel**, Watertown, Mass, USA

2010 FSH Society International Research Consortium Meeting, in Watertown, Massachusetts, from 21 to 22 October 2010

**PEREZ Daniel**, Watertown, mss, USA

FSH Society International Patient and Researcher Network Meeting, in Las Vegas, Nevada, from 30th July to 1st August 2010

**RUTKOWSKI Anne**, Olathe, Kansas, USA

Congenital Muscular Dystrophy Outcome Measure meeting Part Two, October 22nd-23rd at the Dubowitz Neuromuscular Centre in London

**SCHERMAN/GALY Daniel/Anne**, Evry, France

9ème Congrès Annuel de la Société Francophone de Thérapie Cellulaire et Génique, du 13 au 15 juin 2010

**SWEENEY Lee H.**, Philadelphie, Penn, USA

New directions in Biology and Disease of skeletal Muscle, organized by Lee Sweeney, from May 5 to May 8, 2010 at the Westin Ottawa, Ontario, Canada

**TAJBAKHSH Shahragim**, Paris, France

EMBO Conference series 2011 "Advances in Stem Cells Research : Stem Cells in Development, Regeneration and Disease", organisé à Paris du 6 au 8 avril 2011

**TAYLOR Naomi**, Montpellier, France

Cellular Therapy of Cancer Symposium, at the Corum of Montpellier, from 24th to 27th September, 2010

**VALENTIN Aurélie**, Paris, France

Les transversales Santé de Paris Innovation

**VAN COPPENOLLE Fabien**, Villeurbanne, France

21ème Colloque de l'Association de Canaux Ioniques, organisé du 12 au 16 septembre 2010 à la Presqu'île de Giens

**VAN DER MAAREL Silvère**, Leiden, The Netherlands

Best Practice Meeting DNA Diagnosis of FSHD, on June 9th 2010 at Leiden, the Netherlands

**VANDENDRIESEN Thierry**, Leuven, Belgique

18ème Colloque de la Société Européenne de Thérapie Génique et Cellulaire, organisé à Milan du 22 au 25 octobre 2010

**YANIV Mosche**, Paris, France

Colloque "The Operon Model and its Impact on Modern Molecular Biology", organisé du 17 au 20 mai 2011 à l'Institut Pasteur, Paris

#### **J/Plateformes non stratégiques**

**CEDS/GRMD**, Mézilles, France

Financement 2010 CEDS (chiens GRMD)

#### **K/ Essais cliniques**

**BASTIN Jean**, Directeur Lab. BAROUKI, Paris, France

Projet : Essai clinique mené chez des patients atteints d'une myopathie mitochondriale (déficit en CPT2) traité avec du bafilazil®

**o – O - o**