



Yanick Crow

Président du Conseil Scientifique
Clinicien de centre expert,
Investigateur de projet de
recherche à l'Institut Imagine, Paris,
France

- **Nationalité** : Britannique
- **Spécialités** : Génétique et Syndrome Aicardi-Goutières

Il participe à la mise en œuvre d'un
essai clinique ayant pour objectif de
tester si des médicaments appelés

« inhibiteurs de la transcriptase inverse » permettent d'atténuer
les perturbations biologiques du syndrome Aicardi-Goutières.
Onze patients âgés de 1 mois à 18 ans sont inclus en France.



Patrick Aubourg

Neuropédiatre, Directeur de l'unité
INSERM U-745, Hôpital Kremlin
Bicêtre, France

- **Nationalité** : Française
- **Spécialités** :
Leucodystrophies/Thérapie
génique

Il participe à la mise en œuvre des
premiers essais cliniques de
thérapie génique dans le traitement
de l'ALD cérébrale. Quatre patients

ont été inclus en France. Il participe également à la mise
en œuvre d'un essai clinique de thérapie génique dans le traitement
de la leucodystrophie métachromatique. Cinq patients sont
inclus en France.



Elena Ambrosini

Chercheur, Département de Biologie
Cellulaire & Neuroscience à Rome,
Italie

- **Nationalité** : Italienne
- **Spécialités** : Biologie moléculaire,
Leucoencéphalite méga
encéphalique avec kyste sous
corticaux



Enrico Bertini

Médecin Neurologue, Chef de
l'Unité des Maladies Musculaires et
Neurodégénératives à Rome, Italie

- **Nationalité** : Italienne
- **Spécialités** :
Leucodystrophies/Maladies
génétiques



Florian Eichler
Médecin Neurologue, Directeur du
Service Leucodystrophie,
MassGeneral Hospital for Children
à Boston, États-Unis.

- **Nationalité** : Américaine
- **Spécialités** : Neurogénétique,
Retard de développement, X-ALD

Il participe à la mise en œuvre d'un
essai clinique de thérapie génique
dans le traitement de l'ALD
cérébrale. Dix-sept patients sont
inclus mondialement.



Jacqueline Trotter
Chercheur/Professeur de Biologie
cellulaire, Université à Mainz en
Allemagne

- **Nationalité** : Allemande
- **Spécialités** : Biologie/Biochimie
de la myélinisation et
remyélinisation



Raul Estevez
Ph.D. Professor of
Physiology à Barcelone,
Espagne

- **Nationalité** : Espagnole
- **Spécialités** : MLC,
Pathophysiologie,
modèles animaux



Adeline Vanderver
Médecin Neurologue/ Director
of the Myelin Disorders Clinic
at Children's National Health
System of Philadelphia, États-
Unis

- **Nationalité** : Américaine
- **Spécialités** : Troubles
héréditaires de la myéline



John Livingston
Médecin Neurologue
Pédiatre, Leeds general
Infirmary, Royaume-Uni

- **Nationalité** : Britannique
- **Spécialités** : Maladie neurogénétique, épilepsies et troubles moteurs



Ronald Wanders
Chercheur/Professeur
d'enzymologie et de Maladies
métaboliques héréditaires à
Amsterdam, Pays-Bas

- **Nationalité** : Hollandaise
- **Spécialités** : Maladies génétiques métaboliques/ Maladies peroxysomales dont ALD et Refsum



David Rowitch
Neuropédiatre/Chercheur,
Professeur de pédiatrie &
neurochirurgie, San Francisco,
États-Unis

- **Nationalité** : Américaine
- **Spécialités** : Découverte des gènes Olig/leuco-dystrophies/Thérapie cellulaire pour la maladie de Pelizaeus Merzbacher

Il participe à la mise en œuvre d'un

essai clinique de thérapie cellulaire dans le traitement de la maladie de Pelizaeus-Merzbacher. Quatre garçons ont été inclus.



Nicole Wolf
Médecin Neurologue pédiatre
/ Clinicien de centre expert à
Amsterdam, Pays-Bas.

- **Nationalité** : Hollandaise
- **Spécialités** : Troubles hypomyélinisants/ Syndrome 4H