

Traduction française du communiqué « RESEARCH GRANT 2021 » de l'ASA

## APPEL A PROJETS DE RECHERCHE 2021

Les meilleurs chercheurs travaillant sur le syndrome d'Angelman ont postulé au 4<sup>ème</sup> Appel à Projets de Recherche de l'ASA.

Nous sommes fiers de vous présenter les lauréats de cet Appel à Projets ainsi que leurs projets de recherche.

170 000 €

Dr Ilaria Tonazzini & Dr Laura Baroncelli, CNR Nano, Pise, Italie

### **Nano-outils innovants ciblant le cerveau et méthodes d'imagerie pour le développement thérapeutique dans le syndrome d'Angelman (InnovAS)**

L'objectif du projet InnovAS est d'améliorer les essais thérapeutiques futurs

- en travaillant sur une méthode moins invasive pour introduire les oligonucléotides antisens (ASOs) dans le cerveau en comparaison avec les injections intrathécales. La stratégie étudiée sera basée sur des nanoparticules biocompatibles qui peuvent être introduites de manière non invasive par voie nasale.
- en évaluant des méthodes d'imagerie non invasives comme biomarqueurs objectifs pour mesurer l'activité cérébrale chez les patients avec SA.

175 000 €

Dr Simão da Rocha & Dr Evguenia Bekman, Université de Lisbonne, Portugal

### **Boîte à outils de cellules souches pour modéliser le dysfonctionnement du cervelet dans le SA**

Ce projet vérifiera l'hypothèse que le dysfonctionnement du cervelet a une part significative de responsabilité dans les symptômes du SA, en particulier dans l'ataxie. Grâce à une méthode basée sur les cellules souches, des organoïdes cérébelleux seront générés à partir de cellules souches pluripotentes (iPSCs) de patients et de contrôles génétiquement apparentés. Ces modèles de cervelet seront utiles pour tester des candidats médicaments, dans le but d'améliorer la qualité de vie des personnes avec le SA.

Nous sommes heureux que ces chercheurs reconnus travaillent sur le syndrome d'Angelman. Ils ont toute notre reconnaissance et notre soutien.

Betty Willemsen  
Présidente de l'ASA

Traduction : AFSA – août 2022