



Master Biologie Moléculaire et Cellulaire 'BMC',
Université Paris Cité - UFR Sciences du Vivant

Parcours : **Biologie et Développement Cellulaires 'BDC'**

<https://master2bdc.ijm.fr/>

Fiche de Projet de Stage de M2, 2026-2027

Unité INSERM ou CNRS ou Université : INSERM U1335 Intitulé Equipe : Déficits sensoriels progressifs, pathophysiologies et thérapies ED d'appartenance : ED3C (ED 158) Responsable de l'Equipe : Dr Aziz EL AMRAOUI	Responsable du Stage : Dr Sandrine VITRY Contacts Adresse : Institut de l'Audition, IHU reConnect, Institut Pasteur, 63 rue de Charenton, 75012 Paris Email : sandrine.vitry@pasteur.fr Tel :
--	---

Titre du projet :

Approches de thérapie génique et d'édition du génome pour le traitement des troubles sensoriels héréditaires

Résumé du Projet de Stage (en 300 mots maximum, mots clés en gras)

L'**audition**, l'**équilibre** et la **vision** sont essentiels à la communication, à la mobilité et aux interactions sociales. Pourtant, de nombreux troubles sensoriels héréditaires, comme le **syndrome d'Usher** (première cause de surdité congénitale associée à une cécité progressive), restent sans traitement curatif. Ce syndrome représente un modèle relevant pour étudier l'impact des mutations génétiques sur les cellules sensorielles de l'oreille interne et de la rétine, et pour développer des approches thérapeutiques innovantes. Malgré les avancées en **thérapie génique** et **édition du génome**, des défis persistent : efficacité de la délivrance dans des cellules spécialisées, durabilité des effets et sécurité des traitements.

L'objectif de ce projet de Master est de contribuer au développement et à l'évaluation de stratégies de thérapie génique ciblant les troubles sensoriels, en utilisant des modèles murins établis et cliniquement pertinents. Le travail portera sur (1) la caractérisation de l'efficacité du transfert de gènes thérapeutiques, (2) l'évaluation des effets induits à l'échelle moléculaire et cellulaire, (3) l'analyse fonctionnelle des organes sensoriels ciblés. Cela inclut l'évaluation de la restauration de l'expression génique, l'analyse de la structure et de l'organisation cellulaire, ainsi que la participation à l'interprétation de mesures fonctionnelles. L'étudiant(e) sera formé à un large éventail de techniques expérimentales, notamment la préparation de tissus pour des analyses en biologie moléculaire (PCR, transcriptomique), en biochimie, et en immunohistochimie. L'accès à des approches d'imagerie avancée et à des outils d'analyse de données sera également proposé, ainsi que la participation à des expériences in vivo et à des collaborations multidisciplinaires.

Ce projet sera mené dans un environnement de recherche interactif, à l'interface des **neurosciences**, de la biologie moléculaire et de la recherche translationnelle. Il offrira à l'étudiant(e) une formation complète, alliant compétences techniques, conception expérimentale et analyse critique des données, tout en illustrant le passage de la recherche fondamentale à des applications thérapeutiques.

Publications de l'équipe relatives au projet de stage (max 5)

Vitry S, Mendia C, Maudoux A, El-Amraoui A. 2025. [Advancing precision ear medicine: leveraging animal models for disease insights and therapeutic innovations](#). Mamm Genome. doi: 10.1007/s00335-025-10126-y.

Mendia C, Peineau T, ..., Dulon D, Vitry S, El-Amraoui A. 2024. [Clarín-2 gene supplementation durably preserves hearing in a model of progressive hearing loss](#). Mol Ther. doi: 10.1016/j.yymthe.2024.01.021.

Wentling M, Yakhlef Sanchez A, ..., Vitry S, Yildizhan KY, Le Gal S, Nouaille S, Bowl MR, Thiry M, Dulon D, Delmaghani S, El-Amraoui A. [Compensatory Interplay Between Clarín-1 and Clarín-2 Deafness-Associated Proteins Governs Phenotypic Variability in Hearing](#). Adv Sci (Weinh). 2026 Apr;13(20):e21853. doi: 10.1002/advs.202521853.