

Pompe Disease in Children and Adults: Further Insights into the Clinical Presentation and Long-Term Effects of ERT

1. Patiënten met de c.-32-13T>G mutatie kunnen al tijdens de kinderleeftijd ernstige zwakte van de skelet en ademhalingspijnen ontwikkelen. *(dit proefschrift)*
2. Kinderen en volwassenen met de ziekte van Pompe hebben na 5-7 jaar therapie nog steeds baat bij behandeling met enzymvervangende therapie. *(dit proefschrift)*
3. Het ACE polymorfisme is niet dé bepalende factor voor het brede klinisch spectrum en de variatie in de response van patiënten op ERT in kinderen en volwassenen met de ziekte van Pompe. *(dit proefschrift)*
4. Enzymvervangende therapie vermindert het risico op het nodig hebben van een rolstoel. *(dit proefschrift)*
5. De huidige generatie ERT is een tussenstation, niet het eindstation, op de reis naar volledige genezing van patiënten met de ziekte van Pompe. *(dit proefschrift)*
6. Internationale samenwerking is de motor van vooruitgang in het onderzoek naar zeldzame ziekten.
7. The overall goal of PRO measurement is to understand the patient experience and it provides an essential part of evaluating the impact of disease and treatment. *(Basch 2014)*
8. The democratization of health information, use of social media, rapid growth of networked patient communities, and new technologies have changed the landscape and provide new opportunities to harness the energy and expertise of patients. *(BMJ 2015)*
9. Nanotechnology in medicine is going to have a major impact on the survival of the human race. *(Bernie Marcus)*
10. The mixed model statistical method is superior to the repeated measures ANOVA in handling multiple missing data points while modeling the influence of nonlinear, individual differences across time. *(Krueger 2004)*
11. Averages and relationships and trends and graphs are not always what they seem. There may be more in them than meets the eye, and there may be a good deal less. *(Darrel Huff in How to Lie With Statistics)*