

## Stellingen behorende bij het proefschrift

### Enzyme-replacement Therapy in Mucopolysaccharidoses with a Specific Focus on MPS VI

#### Enzym vervangende therapie in de mucopolysaccharidosen met specifieke aandacht voor MPS VI

1. Enzym vervangende therapie voor MPS I, II en VI heeft effect op de wanddiameters van het hart, maar niet op de karakteristieke kleppathologie. *(dit proefschrift)*
2. Behandeling met enzym vervangende therapie voor patiënten met MPS VI leidt bij het merendeel van de patiënten tot een verbeterd uithoudingsvermogen, een betere beweeglijkheid van de gewrichten, het slinken van de vergrote lever en milt, en een vermindering van de uitscheiding van glycosaminoglycanen in de urine. *(dit proefschrift)*
3. Bij alle Nederlandse patiënten met MPS VI die behandeld worden met enzym vervangende therapie treden antilichamen tegen het recombinante enzym op. *(dit proefschrift)*
4. Pijnklachten komen vaak voor bij patiënten met MPS. Bij patiënten met een verstandelijke beperking wordt dit onderschat. *(dit proefschrift)*
5. De neurocognitieve ontwikkeling in patiënten met MPS VI is een combinatie van het genotype en de omgevingsfactoren van de patiënt. *(dit proefschrift)*
6. A proxy-reported quality of life questionnaire partly measures the quality of life of the proxy.
7. Samenwerking tussen wetenschappelijke onderzoeksgroepen die zich bezighouden met zeldzame ziektes moet verplicht kunnen worden door de Europese Unie.
8. Due to their intimate knowledge of their diseases and lay expertise, patient organisations are in a strategic position at the crossroads of all fields in research (from basic to therapeutic), patients are in the best position to highlight the setbacks in basic research and clinical applications and the weaknesses of translational research for their disease.
9. Het zou een hoop dubbel werk schelen als negatieve resultaten ook werden gepubliceerd.
10. Dat was dan het einde van een lange doch mooie tocht door het rijk van onbegrip. *(Arnold Reuser)*
11. I can levitate birds. No one cares. *(Woody Allen)*