

Stellingen behorend bij het proefschrift:

Enzyme Therapy in Non-classic Pompe's disease

Safety and efficacy of recombinant human α -glucosidase from milk of transgenic rabbits and from Chinese hamster ovary cells

1. Het klinisch spectrum van de ziekte van Pompe is continu (dit proefschrift).
2. Enzymvervangings therapie verbetert het uithoudingsvermogen, de spierkracht en de longfunctie van kinderen en volwassenen met de ziekte van Pompe (dit proefschrift).
3. Het resultaat van enzymvervangings therapie bij de ziekte van Pompe is sterk afhankelijk van de conditie van de spieren bij aanvang van de behandeling (dit proefschrift).
4. Bij toepassing van enzymvervangings therapie leidt dosering per kilogram vetvrije massa tot een meer gestandaardiseerde behandelingsmethode dan dosering per kilogram totaal lichaamsgewicht (dit proefschrift).
5. Het verdwijnen van PAS-positieve vacuolen in lymfocyten van patiënten met de ziekte van Pompe is een vroeg effect van enzymvervangings therapie, maar voorspelt niet de mate van therapeutische effectiviteit (dit proefschrift).
6. Knock-out muizen kunnen ook zonder dat ze op mensen lijken onontbeerlijk zijn voor de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen.
7. Bij het onderzoek naar de werkzaamheid van nieuwe therapieën is klinische effectiviteit altijd belangrijker dan effecten op gemeten (surrogaat)markers.
8. De bevinding dat bij Chinese dyslectici een heel ander deel van de hersenen is aangedaan dan bij dyslectici voor het alfabetische schrift pleit tegen het bestaan van één universele biologische oorsprong van dyslexie (Siok *et al.* Nature 2004; 431: 71-76).
9. Goedkeuring door de European Medicines Agency (EMA) van in melk van transgene geiten geproduceerd recombinant humaan antitrombine (ATryn®) zal leiden tot registratie van meer recombinant humane eiwitten, die in Nederland niet geproduceerd, maar wel verkocht mogen worden (Volkskrant, 04-09-2004).
10. Terwijl de stormbal is gehesen voor 'Nederland-Kennisland', doet het medisch onderzoek van de gezamenlijke medische centra in Nederland het significant beter dan het wereldgemiddelde.
11. Je gaat het pas zien als je het door hebt (Johan Cruijff).

Léon Winkel
Rotterdam, 5 November 2004