



Universiteit  
Leiden  
The Netherlands

## **Developing tissue specific antisense oligonucleotide-delivery to refine treatment for Duchenne muscular dystrophy**

Jirka, S.

### **Citation**

Jirka, S. (2017, July 4). *Developing tissue specific antisense oligonucleotide-delivery to refine treatment for Duchenne muscular dystrophy*. Retrieved from <https://hdl.handle.net/1887/51132>

Version: Not Applicable (or Unknown)

License: [Licence agreement concerning inclusion of doctoral thesis in the Institutional Repository of the University of Leiden](#)

Downloaded from: <https://hdl.handle.net/1887/51132>

**Note:** To cite this publication please use the final published version (if applicable).

Cover Page



Universiteit Leiden



The handle <http://hdl.handle.net/1887/51132> holds various files of this Leiden University dissertation

**Author:** Jirka, Silvana

**Title:** Developing tissue specific antisense oligonucleotide-delivery to refine treatment for Duchenne muscular dystrophy

**Issue Date:** 2017-07-04

## **Stellingen bijhorende bij het proefschrift:**

### **Developing tissue specific antisense oligonucleotide-delivery to refine treatment for Duchenne muscular dystrophy**

**Silvana Jirka**

1. Het sequencen van een faag display library met behulp van NGS voor en na amplificatie in bacteriën is een krachtige manier om parasitaire fagen met een verhoogde groeisnelheid te identificeren (dit proefschrift).
2. Het conjugeren van kleine synthetische peptiden aan een AON heeft geen invloed op de werking van een AON (dit proefschrift).
3. Bij een geneesmiddel moet er een goede balans zijn tussen een doeltreffende opname, veiligheid en verdraagzaamheid om uiteindelijk het gewenste effect te bewerkstelligen (dit proefschrift).
4. Het conjugeren van spier targeting peptiden aan een AON is een veelbelovende strategie om de opname van AON in spieren te verhogen en heeft potentie voor aandoeningen binnen het neuromusculaire veld (dit proefschrift).
5. Een geneesmiddel is pas daadwerkelijk in de cel als deze vrijkomt uit de endosomen.
6. Een behandeling waarvan niet bewezen is dat het levensverlengend werkt maar die wel in staat is de kwaliteit van leven te verbeteren, is in de ogen van een DMD patiënt erg waardevol.
7. Wanneer, na systemische toediening, AON specifiek door target cellen kunnen worden opgenomen, zal de toepassing van AON vele malen breder zijn dan men aanvankelijk dacht.
8. Het gebruik van NGS sequencing zou de standaard moeten worden voor het analyseren van faag display experimenten.
9. Dieren en mensen zijn complexe organismes; men mag er niet direct van uitgaan dat succesvolle resultaten *in vitro* een recht evenredig succes zullen zijn in complexere systemen.
10. Faag display selectie is niks anders dan het zoeken naar een speld in een hooiberg.
11. Bioinformatici en moleculaire wetenschappers zouden vaker tijd met elkaar door moeten brengen om elkaar beter te leren verstaan.