



Universiteit
Leiden

The Netherlands

Outcome measures in Duchenne muscular dystrophy

Naarding, K.J.

Citation

Naarding, K. J. (2023, March 16). *Outcome measures in Duchenne muscular dystrophy*. Retrieved from <https://hdl.handle.net/1887/3571791>

Version:

Publisher's Version

License:

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

Downloaded from:

<https://hdl.handle.net/1887/3571791>

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

Stellingen behorende bij het proefschrift getiteld

Outcome measures in Duchenne muscular dystrophy

1. Het vetpercentage in ledemaatspiers gemeten met MRI is los van de leeftijd gerelateerd aan belangrijke ziektemijlpalen bij Duchenne patiënten. *Dit proefschrift.*
2. Bij Duchenne spierdystrofie is de duimmuisspier tot laat in de ziekte relatief gespaard. *Dit proefschrift.*
3. Bij observationeel onderzoek zijn de patiënten die wel in het onderzoek zitten net zo belangrijk als die er niet in zitten. *Dit proefschrift.*
4. Door de beperkte toegang tot het intellectueel eigendom van leveranciers van meetapparatuur wordt het ontwikkelen en gebruik van consistente uitkomstmaten bemoeilijkt. *Dit proefschrift.*
5. Een volledig genezende behandeling zou uitkomstmaten overbodig maken.
6. Natuurlijk beloop onderzoek is belangrijk voor verbetering van zorg, omdat het keuzes en timing van hulpmiddelen en/of therapieën kan ondersteunen.
7. In een chronisch progressieve ziekte is het effect van een behandeling beter naar een eerder ziektestadium te extrapoleren dan naar een later ziektestadium.
8. Overheid en goede doelen zouden ook in de laatste fase van innovatieve therapieën voor zeldzame ziekte betrokken moeten blijven met investeringen in onderzoek en productie om de marktprijs per persoon acceptabel te houden.
9. Black boxen zijn alomtegenwoordig; zowel in commerciële software alsook in het hoofd van de promovendus. Je weet wat erin en eruit gaat, maar niet wat erin omgaat.
10. Het delen van meetapparatuur met verschillende vakgroepen in een omvangrijke instelling werkt bevorderlijk voor de lichamelijke conditie van een promovendus.