

STELLINGEN BEHORENDE BIJ HET PROEFSCHRIFT

**SURVIVAL, QUALITY OF LIFE AND EFFECTS OF ENZYME
REPLACEMENT THERAPY IN ADULTS WITH POMPE DISEASE**

Outcomes of the IPA / Erasmus MC Pompe Survey

Overleving, kwaliteit van leven en effecten van enzymtherapie
bij volwassen patiënten met de ziekte van Pompe

Resultaten van de IPA / Erasmus MC Pompe Survey

1. Volwassen patiënten met de ziekte van Pompe hebben een hogere sterftekans dan de algemene bevolking. *(dit proefschrift)*
2. Enzymtherapie verbetert de overleving van volwassen patiënten met de ziekte van Pompe. *(dit proefschrift)*
3. De prevalentie van pijn is hoger in patiënten met de ziekte van Pompe dan bij gezonde controles. *(dit proefschrift)*
4. Behandeling met enzymtherapie heeft een positief effect op vermoeidheid bij volwassen patiënten met de ziekte van Pompe. *(dit proefschrift)*
5. De kwaliteit van leven van patiënten met de ziekte van Pompe verbetert tijdens enzymtherapie; hetzelfde geldt voor participatie in het dagelijks leven. *(dit proefschrift)*
6. Elke sub-classificatie (binnen een klinisch spectrum) doet de werkelijkheid tekort.
7. Dure weesgeneesmiddelen zullen nooit kosteneffectief zijn (op basis van standaard kosten-effectiviteitscriteria).
8. Never again should a people starve in a world of plenty. *(Irish Famine Monument - Harvard Square, Cambridge)*
9. Democracy is a fraudulent contract; from the moment you cast your vote, you have abandoned power until next election. This may be the way how elections work, but not how democracies should. *(Jose Saramago)*
10. Sometimes the road less traveled is less traveled for a reason. *(Seinfeld)*
11. A certain darkness is needed to see the stars. *(Osho)*

Deniz Güngör
November 2013