1ste MD Kennisdag

Lennik – 13 december 2025

Welkom – Bienvenue - Welcome

1. Kennis overbrengen en delen

2. Verschillende organisaties rond MD zichtbaar maken

3. Verbinden

Programma

15u40	Stichting MD Europe	Patrick Molemans
15u55	Wat is Myotone Dystrofie en langs welke lijnen kan de oplossing worden gezocht?	Prof. Dr. Kristl Claeys
16u20	Natural history studie bij volwassenen	Louise Iterbeke
16u40	Inzicht in patiëntenorganisaties & andere MD organisaties	
	▪ Spierziekten Vlaanderen	Carina Verdonck
	▪ Euro DyMA (de Europese federatie van MD associaties)	Bas Haasakker
	▪ vzw SED	Carinne De Mesmaeker
17u10	Getuigenis van een MD-patiënt	Laura Wuyts
17u20	Revalidatieziekenhuis inkendaal	Dr. Els Van Rossem
17u35	Overzicht medicijnontwikkeling en de lopende trials	Jorg Van Gent/Dr. H. Braakman
17u55	Pharmabedrijf Dyne Therapeutics	Monica Fay
18u10	Toelichting van het project ANIQ (het wetenschappelijk vastleggen van data over kinderen met MD)	Dr. H. Braakman/Jorg Van Gent
18u30	Afsluiting	

Stichting MD Europe

Patrick Molemans

Lennik – 13 december 2025

Onze Missie

We zijn gedreven door verbazing dat deze grote ernstige ziekte zo onbekend is. Maar ook door het optimisme van recente medische doorbraken.

Die ontwikkelingen maken het mogelijk om de komende jaren een levensgroot verschil te maken voor echt heel veel mensen.

Onze missie is dan ook dat dit de laatste generatie met MD wordt.

Hiervoor is nu nodig:

- Méér bekendheid voor MD
- Méér onderzoek
- Méér ondernemerschap en samenwerking.

Rol van Stichting MD Europe ?

- Stichting MD (NL) is in 2019 opgericht uit verbazing dat een zo veel voorkomende ernstige ziekte zo onbekend is.
- We zorgen voor zichtbaarheid door het vertellen van de persoonlijke impact van MD naar zowel het brede publiek als professionals.
- We willen actief bijdragen aan het vinden aan een oplossing.
- Omdat duidelijk is door welk gen MD wordt veroorzaakt, wordt er door veel bedrijven en universiteiten gericht gewerkt aan het vinden van een eerste generatie medicatie. Stichting MD speelt daar een initiërende en ondersteunende rol.
- Stichting MD wil hoopgevende ontwikkelingen gebruiken om mensen met MD, hun familie en vrienden te motiveren actief betrokken te zijn bij deze positieve ontwikkelingen.
- Stichting MD is aanvullend aan patiëntenverenigingen in haar pro-activiteit en met haar focus op MD.
- Geïnspireerd door onder meer Myotonic Dystrophy Foundation in de Verenigde Staten zoeken we daarbij naar gelijkgestemde partners in Europa omdat een dergelijke organisatie in vele landen ontbreekt of onder de radar opereren.

Direct betrokken professionele bestuursleden

JORG VAN GENT

Bestuur - Voorzitter (Investment Banker ABN AMRO)

JEROEN VIS

Bestuur - Penningmeester (Cardioloog)

DENNIS HEEGER

Bestuur - Secretaris (Lead Business Development

PATRICK MOLEMANS

Bestuur (CEO at Grandeco Wallfashion Group)

- Het bestuur is onbezoldigd.
- De stichting MD Europe draait op de tomeloze inzet van vrijwilligers.
- De ambitie is dit in de toekomst te formaliseren in de vorm van een professionele vrijwilligersorganisatie en meer…

MD evenement in Amsterdam 02-2024

1. Meer naamsbekendheid
2. Meer geld voor onderzoek
3. Versnellen van medicijnontwikkeling

Verdere professiona-lisering

1 Meer Naamsbekendheid

Geografische Uitbreiding

- We geloven sterk in samenwerking binnen Europa i.p.v. aparte silo's per land
- Naast de fusie met België willen we gaan samenwerken met o.a. Zweden, Spanje, Italië, …

Werknemers aannemen

- Op dit moment draait de stichting op een groep sterke professionals
- Om verder te kunnen groeien en professionaliseren willen we vaste werknemers aannemen

Activiteiten

Organisatie van events

- De organisatie van events is belangrijk voor fundraising én voor grotere naamsbekendheid
- Bij een groter budget kunnen we grotere events organiseren

Media aandacht

- Sociale Media
- Film & getuigenissen
- Billboard campagnes
- De geschreven pers
- Radio, TV aandacht

1. Meer naamsbekendheid
2. Meer geld voor onderzoek
3. Versnellen van medicijnontwikkeling

Bronnen voor financiering

2 Meer geld voor onderzoek

1. Langetermijn donateurs

- Verlenging bestaande donateurs (300-2000 per jaar)
- Nieuwe vorm: “Lidmaatschap” of “Supporters” van EUR [25-100 per jaar]
- Nalatenschappen (op termijn)

2. Acties

- Uitrol naar België
- Iedereen kan een actie starten!

3. Evenementen

- MD-SED Happening
- Midzomerloop
- Informatiebijeenkomsten (“Amsterdam” bijeenkomst)
- Participatie bestaande evenementen

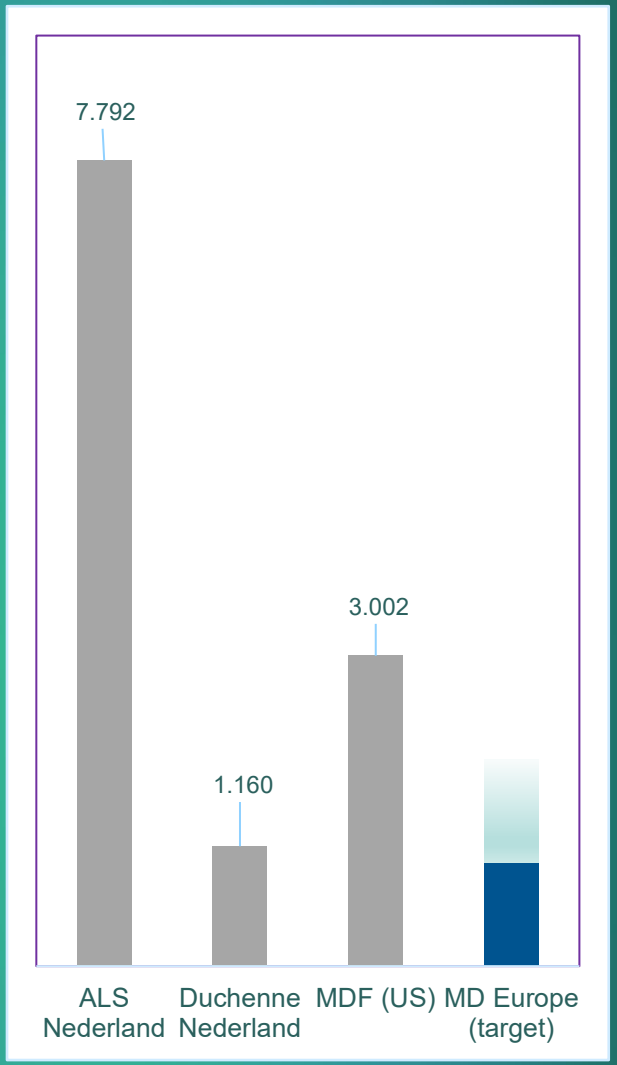
4. Major donors

- Gestructureerde benadering van vermogensfondsen
- Loterijen

5. Sponsoring

- Pharma partners
- Andere belanghebbenen

Budget meer in lijn met vergelijkbare ziektes



Jaarlijks budget in EUR '000

- Voor MD is er geen stichting met een relevant budget in Europa. Het is dus veel lastiger om onderzoeksprojecten op te starten of om structureel aandacht te vragen
- Stichtingen met een significante impact werken allemaal in een mix van betrokken vrijwilligers en betaalde medewerkers

ALS Nederland is het grootste spierziektefonds in Nederland met 14 medewerkers (11.5 FTE). De meerderheid van haar medewerkers is gericht op fondswerving en het initiëren van evenementen gericht op bekendheid en fondswerving. Met het geld worden campagnes georganiseerd, patiënten begeleid en een veel nieuwe onderzoeksprogramma's gestart.

Duchenne Nederland heeft 3.4 FTE in dienst en is gericht op het ondersteunen van de gezinnen van getroffen jongens en het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek naar een oplossing. Duchenne is een aan MD gerelateerde erfelijke ziekte die uitsluitend bij jongens voorkomt (prevalentie 1 op 3.500 jongens).

Mytonic Dystrofy Foundation (MDF US) is de Amerikaanse MD stichting. Ze organiseren patientbijeenkomsten, een jaarlijks congres over MD en ondersteunen wetenschappelijk. MDF heeft 11 medewerkers in dienst.

1. Meer naamsbekendheid

2. Meer geld voor onderzoek

3. **Versnellen van medicijnontwikkeling**

Voorbeeld van impact die we vandaag al maken

Project ANIQ

HET PROBLEEM & ONZE IMPACT

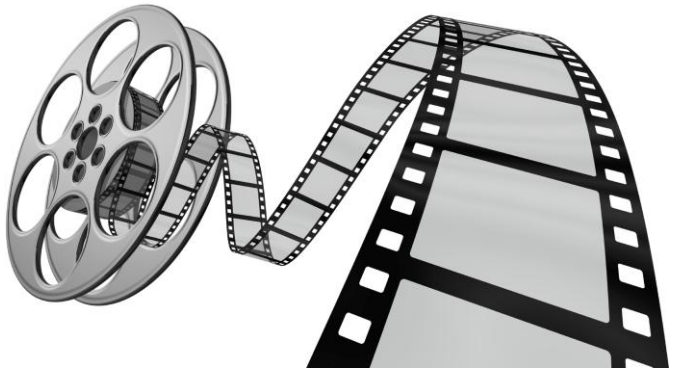
Medicijnen voor kinderen kunnen niet worden goedgekeurd omdat er onvoldoende data over kinderen is over het verloop van de ziekte

www.stopmd.eu

Wij willen ook een gelijkaardige en impactvolle film maken met Belgische families

- Voor extern gebruik om MD onder de aandacht te brengen:
  - ✓ sociale media
  - ✓ onze website
  - ✓ (traditionele) perskanalen
  - ✓ binnen de erkende instanties

- Deelname bevestigen:
  - ✓ Via Patrick Molemans of Carinne DM
  - ✓ Via het e-mailadres van de uitnodiging



Wat is Myotone Dystrofie en langs welke lijnen kan de oplossing worden gezocht?

Prof. Dokter Kristl Claeys (UZ Leuven)

Lennik – 13 december 2025

UZ LEUVEN

European Reference Network
for rare or low prevalence complex diseases
Network Neuromuscular Diseases (ERN EURO-NMD)

1ste MD-Kennisdag, België

Wat is Myotone Dystrofie en langs welke lijnen kan de oplossing worden gezocht?

Kristl Claeys

Lennik, 13-12-2025

UZ Leuven | Herestraat 49 B - 3000 Leuven | www.uzleuven.be tel. +32 16 33 22 11

UNIVERSITY HOSPITALS LEUVEN

Wat is Myotone Dystrofie type 1 ?

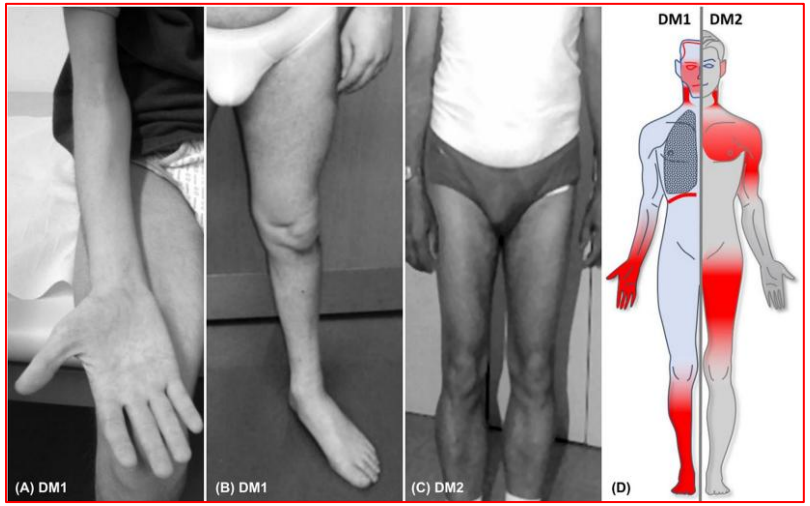
- Myotone dystrofie type 1 (DM1) is een **zeldzame**, **erfelijke** spierziekte waarbij de **spieren** minder goed ontspannen en langzaam zwakker worden, en waarbij ook **andere organen** zoals hart, longen, darmen minder goed gaan werken

- DM1 werd vroeger de **ziekte van Steinert** genoemd (Dr. H. Steinert, 1909)

- Meest frequente erfelijke spierziekte bij volwassenen

- **Myotone** → moeite met ontspannen van spieren;
  Dystrofie → aantasting of verzwakking van spieren;
  Type 1 (DM1) → het meest voorkomende type (vnl. distaal); er bestaat ook DM Type 2 **(DM2)** (vnl. proximaal)

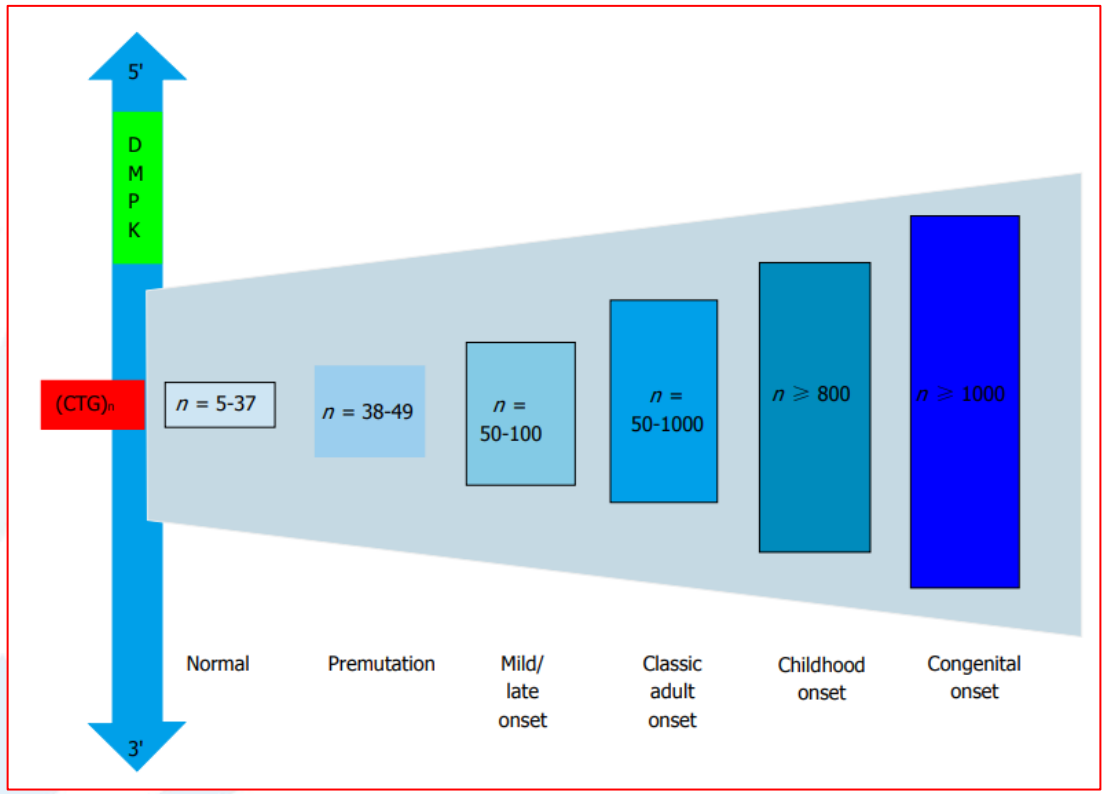
- Verschillende vormen van DM1:
  Congenitale-, Kinder-, **Volwassen-** en Laat-beginnende vorm



Wenninger et al., Front. Neurol. 2018

Hoe ontstaat DM1 ?

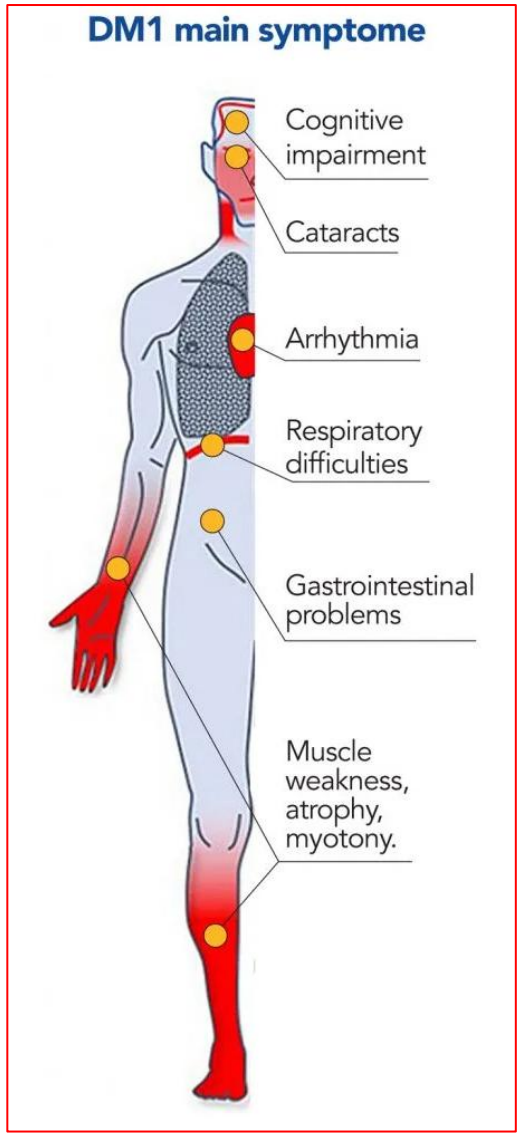
- DM1 wordt veroorzaakt door een **herhaling (repeat) van de letters CTG** in het ***DMPK*-gen** van het DNA
- Hoe meer CTG herhalingen iemand heeft, hoe ernstiger meestal de klachten



Ho et al., World J Clin Pediatr 2015

- Door het foutje in het DNA werken bepaalde eiwitten in de cellen niet goed
- Daardoor kunnen spieren slechter ontspannen, worden zwakker en raken ook andere organen verstoord, zoals:
  - ✓ hart
  - ✓ longen
  - ✓ darmen
  - ✓ ogen
  - ✓ ….
- DM1 is dus een **multisysteemziekte**

DM1 is een multisysteemziekte

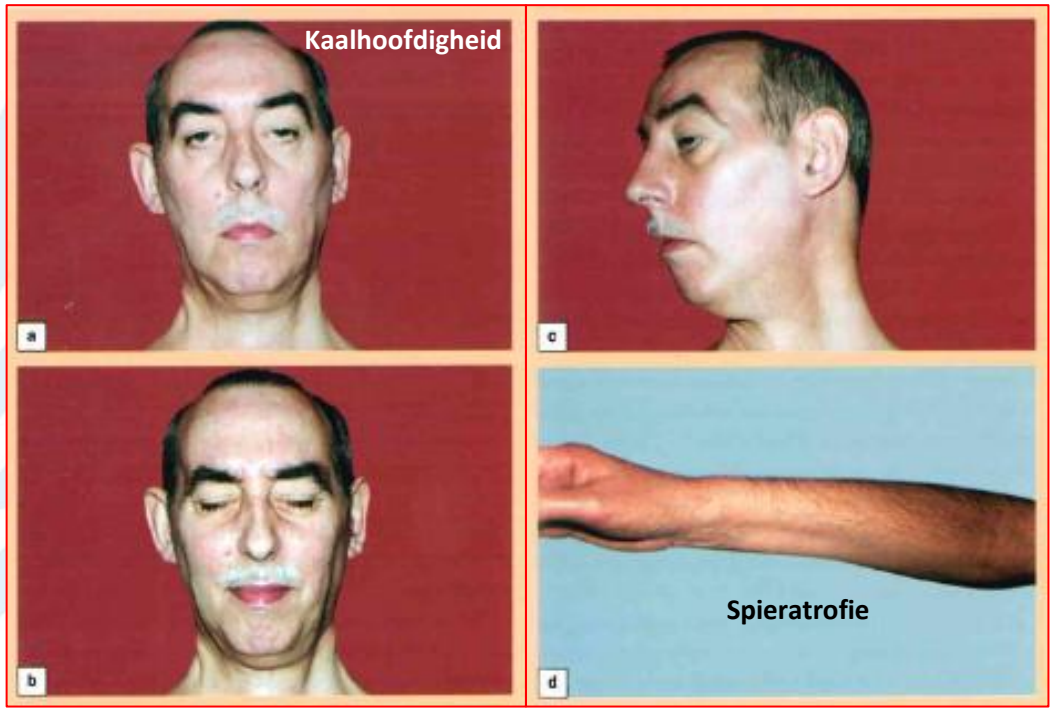


Wat zijn symptomen van DM1 ?

Spierzwakte

- Begint vaak in gezicht, hals, onderarmen, handen en onderbenen
- *Hinderlijk omdat:*
  - Lopen, traplopen en balans worden moeilijker
  - Vallen komt vaker voor
  - Verminderde handkracht en fijne motoriek
  - Moeite met kauwen, praten en slikken

Wenninger et al., Front. Neurol. 2018



Spierzwakte gezicht bij DM1

Een moeder met DM1 in het midden (230 CTG herhalingen) met haar aangetaste dochter links (630 CTG repeats) en aangetaste zoon (730 CTG repeats)

Chris Turner, and David Hilton-Jones J Neurol Neurosurg Psychiatry 2010;81:358-367

©2010 by BMJ Publishing Group Ltd

Congenitale DM1

Chris Turner, and David Hilton-Jones J Neurol Neurosurg Psychiatry 2010;81:358-367

©2010 by BMJ Publishing Group Ltd

Wat zijn symptomen van DM1 ?

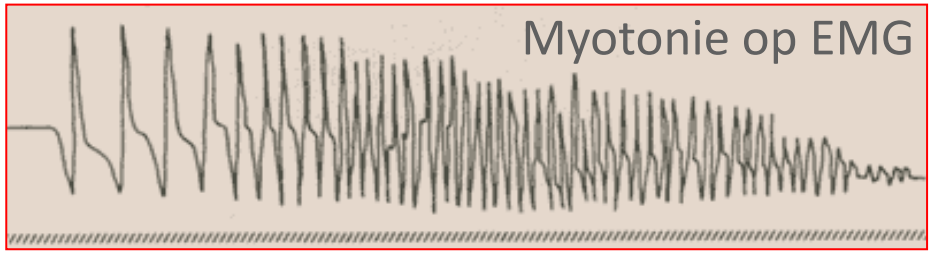
Myotonie (moeite met ontspannen van spieren)

- Vooral in handen, kaak, benen
- Bijvoorbeeld een hand die even “vast blijft zitten” nadat je iets hebt vastgepakt
- Warm-up fenomeen !

- *Hinderlijk omdat:*
  - Voorwerpen laten vallen
  - Moeite met schrijven, typen, knoopjes, omdraaien van sleutels
  - Traagheid bij bewegen in koude of stress

Video_e-2.wmv

Video_e-1.wmv



Ademhaling- en hartstoornissen bij DM1

Ademhalingsproblemen

Vooral verminderde ademhalingskracht en hypoventilatie tijdens slaap

Impact:

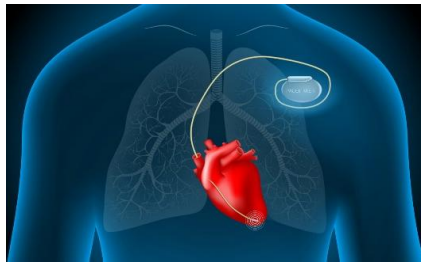
- Extreme vermoeidheid en hoofdpijn
- Infecties door slechte hoestkracht
- Soms behoefte aan nachtelijke beademing (NIV)

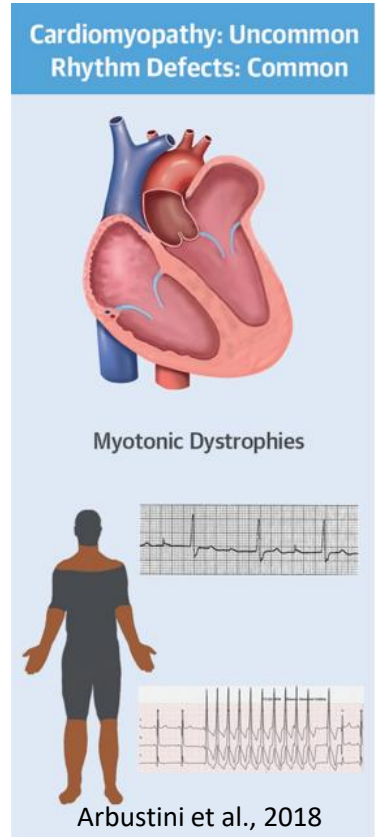
Hartritmestoornissen

Onregelmatig hartritme

Risico's/klachten:

- Duizeligheid, hartkloppingen, syncope
- Soms nood aan pacemaker
- Regelmatige controles noodzakelijk





Arbustini et al., 2018

Vermoeidheid en slaperigheid bij DM1

Ernstige vermoeidheid en dag-nachtritmeproblemen

Veel patiënten ervaren een constante, niet-herstellende vermoeidheid die nauwelijks reageert op rust

Waarom hinderlijk?

- Beperkt werk, studie en sociale activiteiten
- Leidt vaak tot sociaal isolement
- Moeite met concentratie en geheugen

Overmatige slaperigheid overdag en slaapstoornissen

Veelvoorkomend door slaapapneu, hypoventilatie, slecht doorslapen of regulatiestoornissen in de hersenen

Gevolgen:

- Onbedoeld in slaap vallen
- Niet kunnen autorijden of machines bedienen
- Verminderde kwaliteit van leven

→ Behandeling: niet-invasieve ventilatie (NIV), CPAP, Provigil

Maagdarmproblemen bij DM1

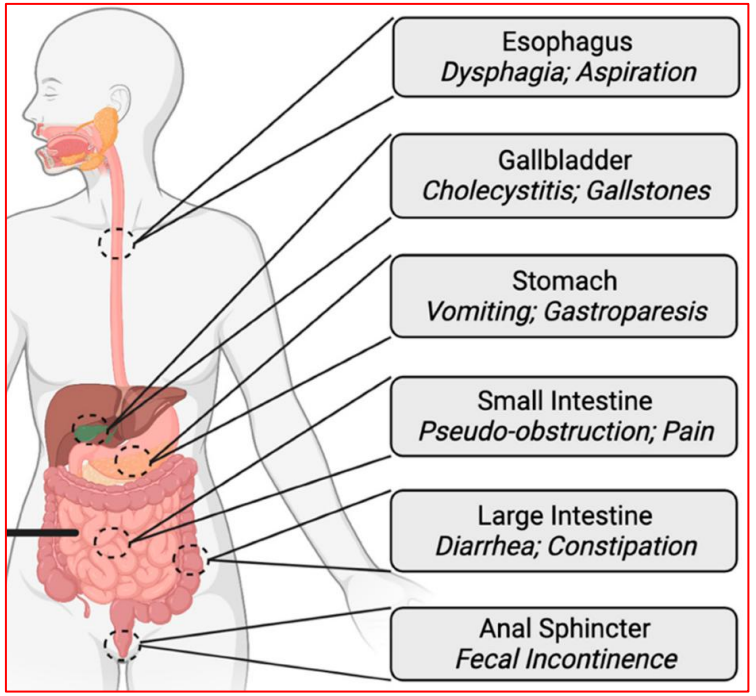
Maagdarmproblemen

Zeer frequent en vaak onderschat

Veelvoorkomende hinder:

- Chronische obstipatie of diarree
- Buikpijn, opgeblazen gevoel
- Problemen met maaglediging
  (misselijkheid, vol gevoel)
- Slikproblemen en verslikken

→ Symptoom behandeling



Petersen and Cooper, Int J Mol Sci 2022

Vroegtijdige staar (cataract)

Troebel zicht dat vaak al op jonge leeftijd ontstaat

→ Operatief te behandelen

Meest hinderlijke klachten bij DM1

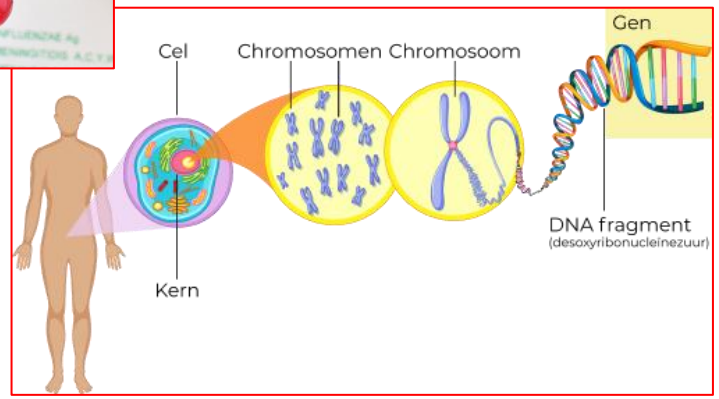
De top-5 klachten bij patiënten met DM1:

1) Ernstige vermoeidheid
2) Overmatige slaperigheid overdag / slecht slapen
3) Spierzwakte
4) Myotonie in handen
5) Maagdarm- en slikproblemen

Hoe stelt men de diagnose van DM1?

De diagnose DM1 wordt gesteld door:

1) Herkennen van symptomen + lichamelijk onderzoek
2) Electromyografie (EMG) om myotonie aan te tonen
3) **Genetisch** bloedonderzoek (*DMPK*-gen) → écht **bevestigend**



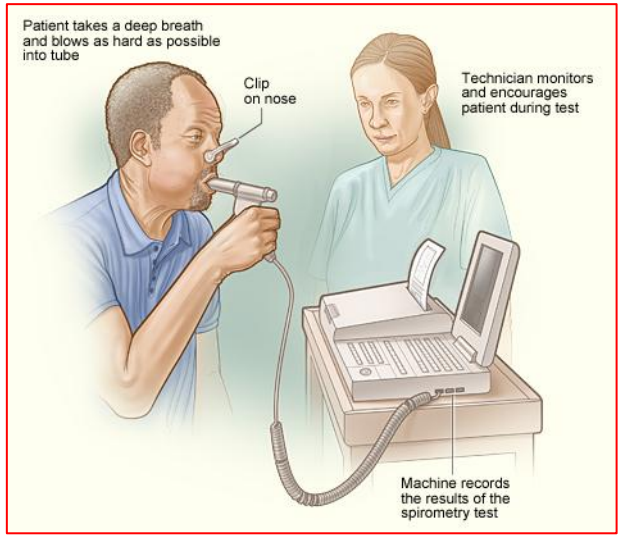
Hoe gebeurt de opvolging bij DM1?

REVIEW OPEN ACCESS

Consensus-based care recommendations for adults with myotonic dystrophy type 1

Neurology: Clinical Practice October 2018 vol. 8 no. 5 1-14

- Elektrocardiogram (EKG) (1x/j), 24u-Holter (1x/j), Echocardiografie (1x/5j)
- Spirometrie (longfunctietest) (1x/j)
- Slaaponderzoek (zo nodig)
- Bloedonderzoek (1x/j)
- Oogonderzoek (1x/j)
- ….. naargelang symptomen



- Jaarlijkse opvolging door neuroloog en evtl. andere specialisten
- Genetisch advies ivm zwangerschap (PGD) en voor familieleden

Ziekteverloop bij DM1?

- DM1 is een langzaam voortschrijdende ziekte, maar het tempo verschilt sterk per persoon

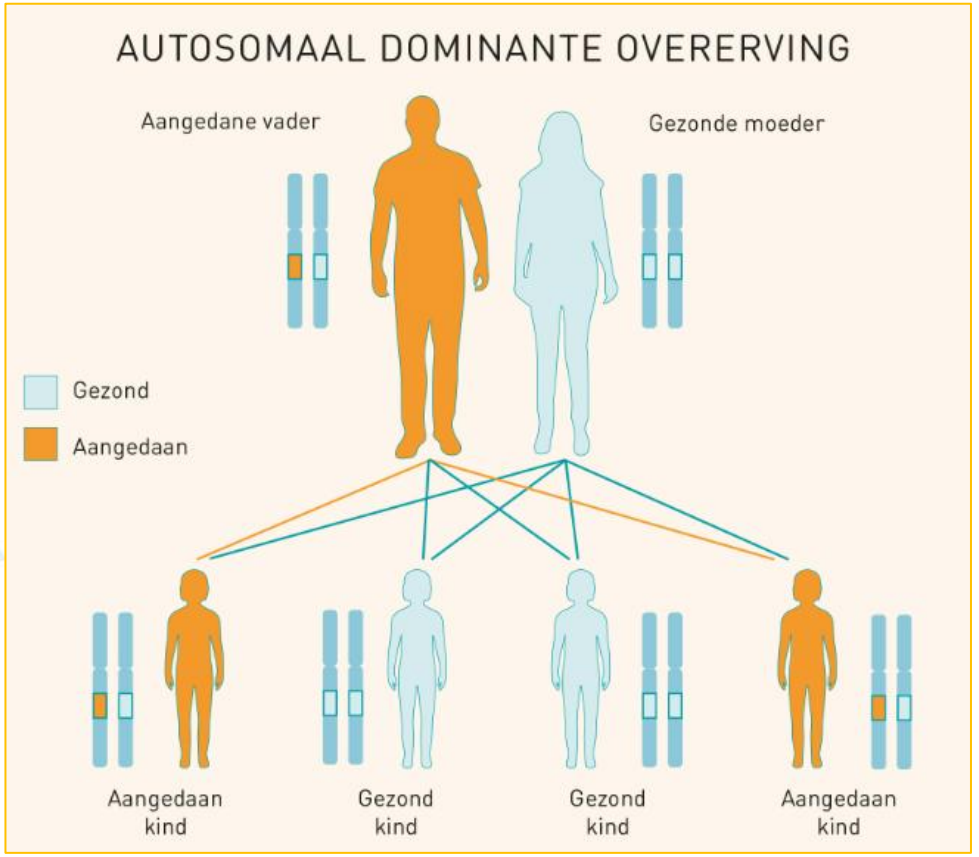
- Goede follow-up bij neuroloog, cardioloog, longarts en eventuele andere disciplines is belangrijk om complicaties te vermijden

- Natuurlijke verloop studie bij volwassenen met DM1
  → Louise Iterbeke, PhD studente KU Leuven

Erfelijkheid bij DM1

Hoe groot is de kans dat mijn kinderen de ziekte krijgen?

- DM1 is een **erfelijke** ziekte → foutje in DNA dat wordt overgedragen
- Autosomaal **dominante** overerving → 50%, zowel jongens en meisjes



Klinische verschillen bij DM1

Waarom heeft de ene persoon meer en andere klachten dan de andere?

1) Grootte van de CTG-herhaling (genetische expansie):

- Hoe groter de CTG repeat, hoe eerder en vaak ook ernstiger de klachten
- Mensen met een kleinere repeat kunnen milde symptomen hebben of pas op latere leeftijd last krijgen
- De repeat kan tussen cellen verschillen (mozaïcisme), waardoor bij dezelfde persoon sommige orgaansystemen meer aangetast zijn dan andere

Klinische verschillen bij DM1

Waarom heeft de ene persoon meer en andere klachten dan de andere?

2) Mate van “anticipatie”:

Bij overdracht van ouder op kind kan de CTG-repeat groter worden (anticipatie), waardoor:

- kinderen vaak eerder klachten ontwikkelen
- soms ernstiger problemen hebben dan de ouder

Dit verklaart verschillen binnen families

Grootmoeder heeft cataract op 64j (130 repeats).
Haar **dochter** spierzwakte en myotonie sedert de geboorte van haar zoon en heeft cataract op 34j (430 repeats).
De **zoon** heeft congenitale DM1 (2500 repeats).

Harris et al. Human Molecular Genetics 1996

Beweging, sporten en DM1

Mag een persoon met DM1 sporten? En welke sporten?

Matige, gecontroleerde lichaamsbeweging kan helpen bij:

- verbeterde conditie en uithoudingsvermogen
- verbeterde spierfunctie (vooral in niet-ernstig aangedane spieren)
- betere balans en minder valneiging
- minder vermoeidheid, positieve effecten op stemming en slaap

Vermijd intensieve krachttraining met maximale belasting !
Bij hart- en ademhalingsproblemen: overleg eerst met je arts !

In het algemeen zijn lage tot matige intensiteit en regelmaat het beste:
Aanbevolen sporten:

- wandelen, nordic walking
- fietsen (evt. elektrisch als hulpmiddel)
- zwemmen
- zachte fitness / lichte weerstandstraining
- yoga, tai chi, pilates
- rustige cardio (crosstrainer, roeitrainer op lage stand)

Behandeling bij DM1

Is er behandeling of genezing mogelijk?

Behandelingen:

- Kinesitherapie, logopedie, ergotherapie
- Hulpmiddelen (voetheffers, wandelstok, rollator, …)
- Symptoombehandeling:
  - Myotonie → bijv. Mexitil, Fenytoïne, Carbamazepine, ..
  - Overmatige slaperigheid overdag → Provigil
  - Pijnmedicatie

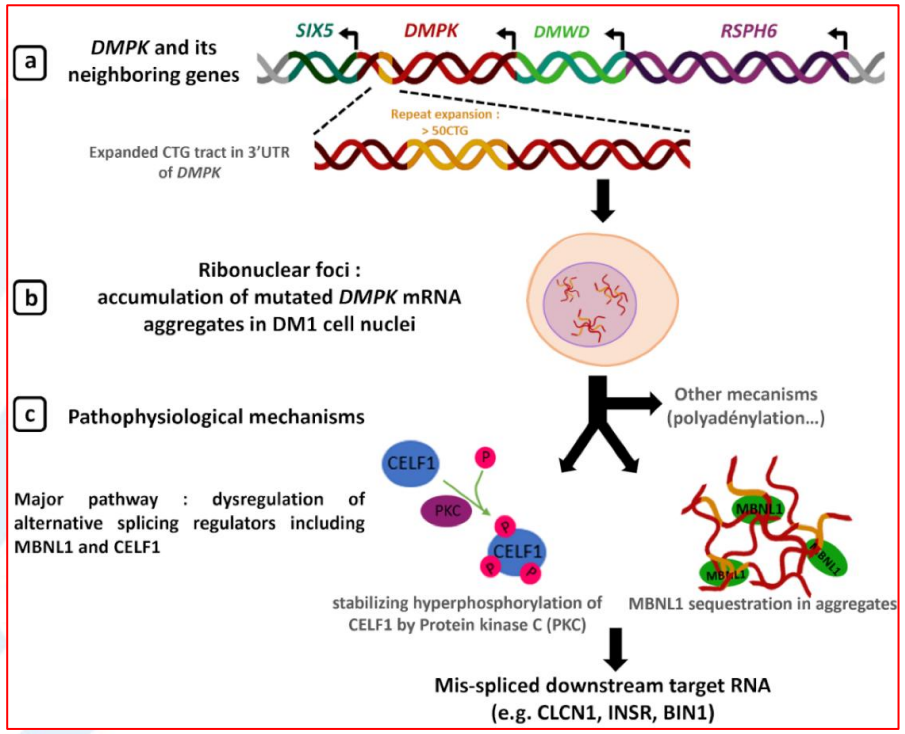
- Hartmedicatie, pacemaker
- Ademhalingsoefeningen en hoestondersteuning
- Niet-invasieve ventilatie (NIV), CPAP
- Middelen tegen obstipatie (vezels, macrogol), diarree of maag-darmkrampen, tegen reflux (PPI's), endocrinologisch, …
- Psychosociale ondersteuning

Nieuwe therapieën bij DM1

Is genezing mogelijk?

Er is **nog geen genezing**, maar er zijn **veelbelovende ontwikkelingen**

Nieuwe therapieën proberen dat probleem bij de bron aan te pakken, in plaats van alleen de klachten te behandelen

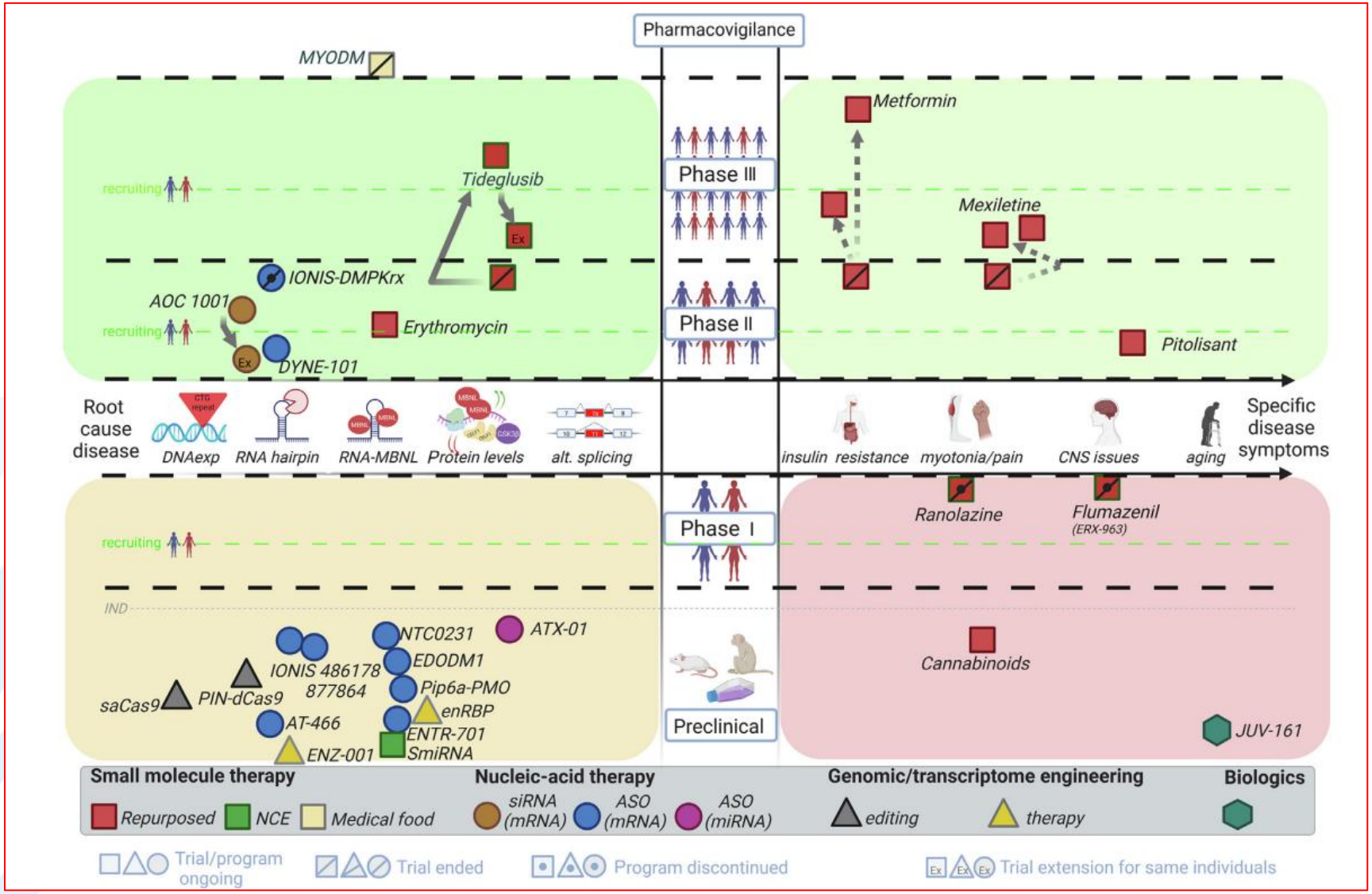


De Pontual et al., Int J Mol Sci 2022

Nieuwe therapieën richten zich op:

- Het uitschakelen van het schadelijke RNA (antisense therapie)
- Medicijnen die het RNA stabiliseren (kleine moleculen)
- Het corrigeren van het DNA (CRISPR/gentherapie)
- Het ondersteunen van spierfunctie

Nieuwe therapieën bij DM1



Pascual-Gilabert M, Artero R, López-Castel A. The myotonic dystrophy type 1 drug development pipeline: 2022 edition. Drug Discov Today. 2023 Mar;28(3):103489.

Dankwoord

NeuroMusculair ReferentieCentrum, Dienst Neurologie, UZ Leuven
Clinical Trial Centrum Neuromusculaire ziekten

Joyce Cremers
Floor Proost
Britt Van Lancker

https://www.uzleuven.be/nl/neurologie/neuromusculair-referentiecentrum-nmrc/klinische-studies/spierziekten-neuropathieen-en-myasthenia-gravis
→ Inclusief meerdere klinische trials bij DM1

Laboratorium voor Spierziekten en Neuropathieën, Departement Neurowetenschappen, KU Leuven

Louise Iterbeke
Matthias Opsomer
Lauren Miguet

Patiënten en families

Patiëntenorganisatie

Contact: Kristl.Claeys@uzleuven.be

Natural history studie bij volwassenen

Doctoraatstudente Louise Iterbeke (UZ Leuven)

Lennik – 13 december 2025

KU LEUVEN

European Reference Network
for rare or low prevalence complex diseases
Network Neuromuscular Diseases (ERN EURO-NMD)

UZ LEUVEN

STUDIE VAN HET NATUURLIJKE VERLOOP BIJ VOLWASSEN PATIËNTEN MET DM1

Louise Iterbeke, Lotte Huysmans, Kobe Bamps, Ronald Peeters, Veerle Goosens, Frederik Maes, Patrick Dupont, Kristl G. Claeys

Laboratorium voor Spierziekten en Neuropathieën, KU Leuven,

Dienst Neurologie, UZ Leuven

Myotone dystrofie type 1 (DM1) – Een introductie

Erfelijke spierziekte waarbij de klachten langzaam erger worden

Genetisch probleem: de CTG-herhaling

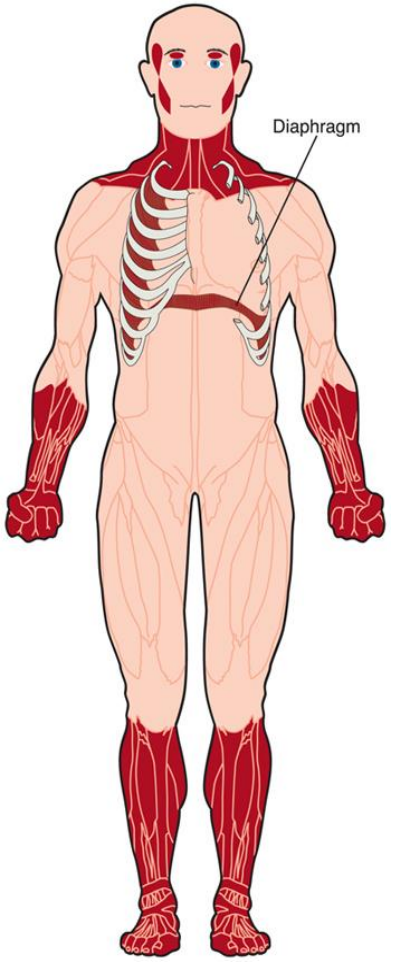
- De lengte bepaalt wanneer de ziekte tot uiting komt

Verschillende vormen van DM1:

- Congenitale-, Kinder-, **Volwassen-** en Laat-beginnende vorm

Meest voorkomende klachten:

- Spieren worden langzaam zwakker
- Myotonie (moeilijk ontspannen van spieren)
- Het kan ook hart, ademhaling, en andere organen beïnvloeden

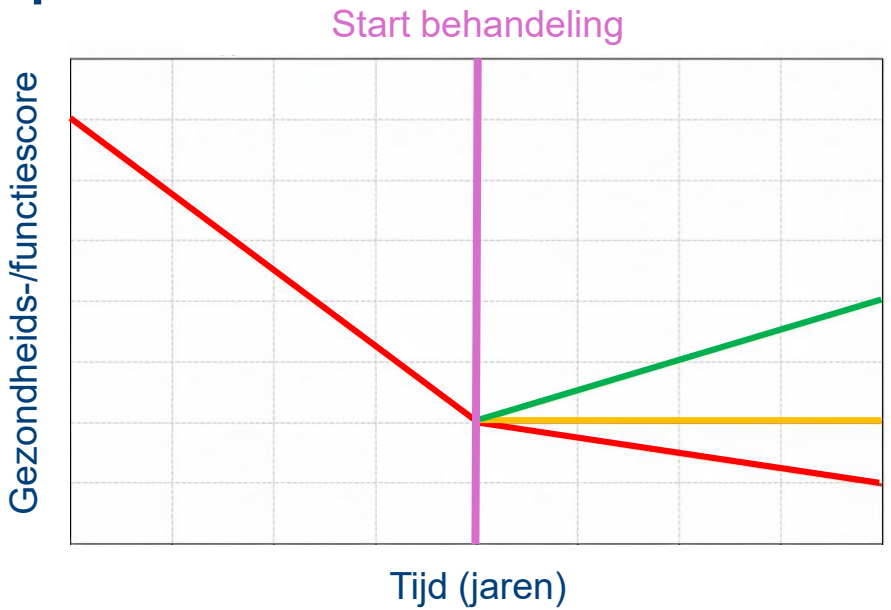


www.mda.org/disease/myotonic-dystrophy

Waarom is onderzoek nodig?

Nieuwe behandelingen zijn in ontwikkeling, om te weten of ze werken

- Moeten we precies weten **hoe de ziekte verloopt**
- Moeten we **goede testen** vinden die:
  - Patiëntvriendelijk zijn (niet-invasief)
  - Kleine veranderingen kunnen zien



Doel van deze studie

1. De evolutie (het verloop) van volwassen DM1 patiënten in kaart brengen
2. Geschikte testen vinden om de werking van medicatie te kunnen vastleggen

Deelnemers

	DM1 patiënten	Gezonde controles
Aantal (N)	30 deelnemers	30 deelnemers
Geslacht	18 vrouwen (60%)	18 vrouwen (60%)
Gem. Leeftijd	38 jaar [24 - 57]	38 jaar [24 - 58]
Ziekteduur	12 jaar [1 - 28]	
Lopen / Ambulantie	80% wandelt zelfstandig (24 patiënten)	100% wandelt zelfstandig

Waarom **vergelijking** tussen **patiënten** en **controles** belangrijk is:

- Door deze vergelijking weten we zeker dat de verschillen die we meten, het gevolg zijn van de DM1 en niet van leeftijd of geslacht

Verloop van de studie

- MRI spieren
- Kracht testen
- Functie testen
- Vragenlijsten

- MRI spieren
- Kracht testen
- Functie testen
- Vragenlijsten

- MRI spieren
- Kracht testen
- Functie testen
- Vragenlijsten

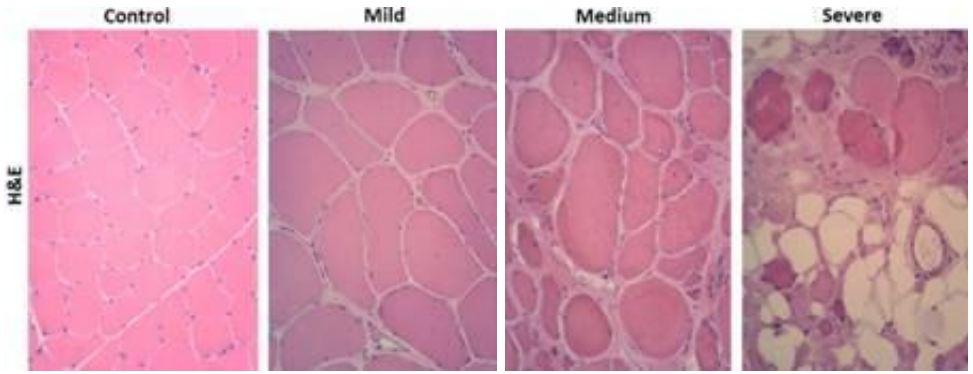
- MRI spieren
- Kracht testen
- Functie testen
- Vragenlijsten

Testen – MRI Spieren

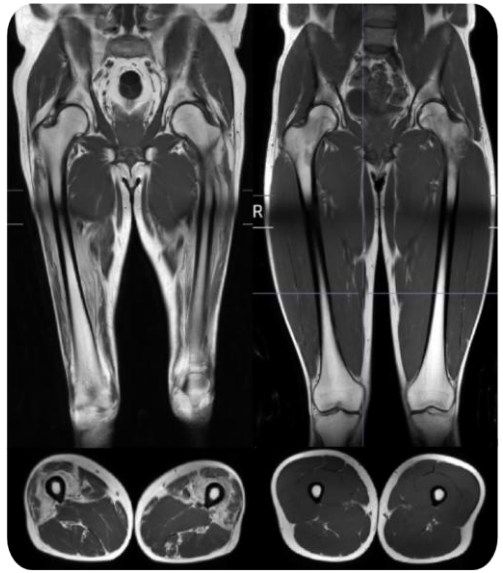
1. Wat is MRI?
   - Veilige en pijnloze techniek
   - Maakt beelden van de binnenkant van uw lichaam

     → Bestuderen van spieren in **boven- en onderbenen**

2. Wat gaan we precies meten?
   - Meten van vervetting in benen (vet fractie %)
   - Meten van ziekte activiteit in de beenspieren (water T2)



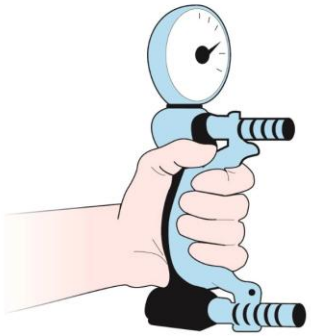
DM1 CTRL

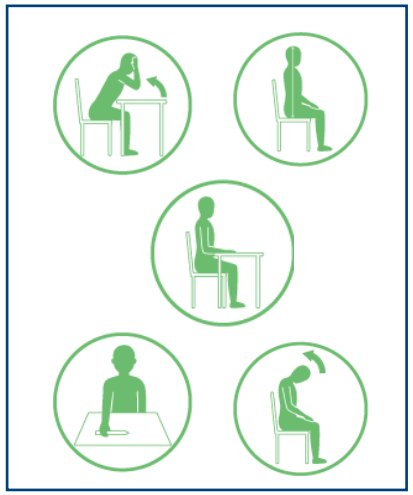


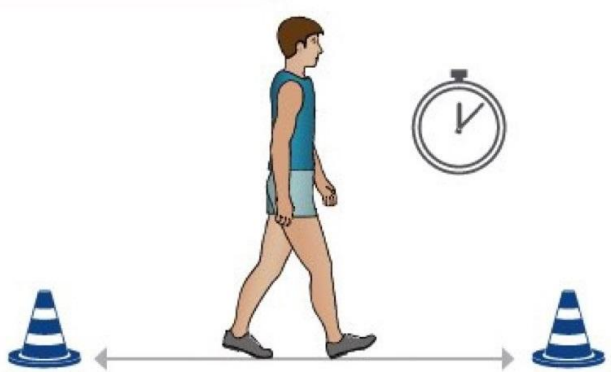
DM1 CTRL

Ripolone et al., Acta neuropathol commun. 2022

Testen - Kracht en functie





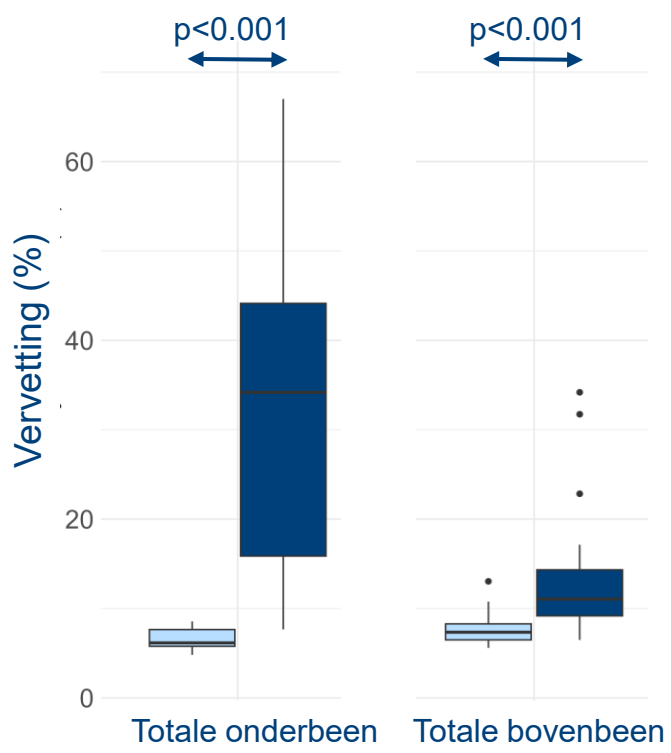


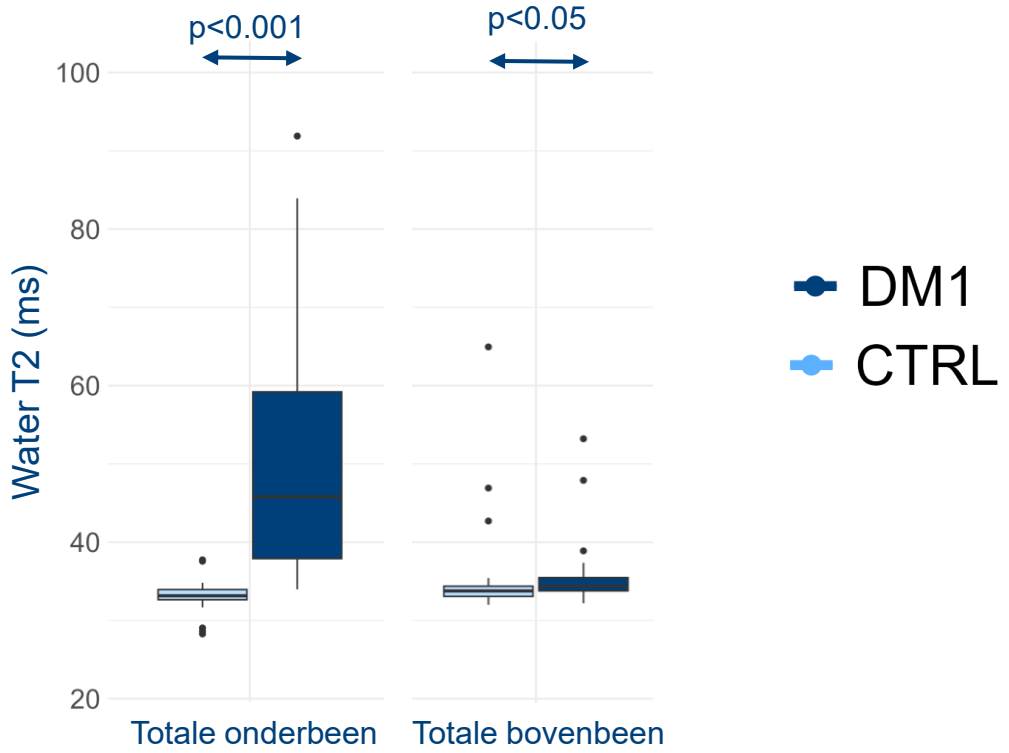
Testen - vragenlijsten

1. Beperkingen in het dagelijkse leven
2. Kwaliteit van leven
3. Vermoeidheid
4. Pijn

Resultaten: patiënten met DM1 vs gezonde controles

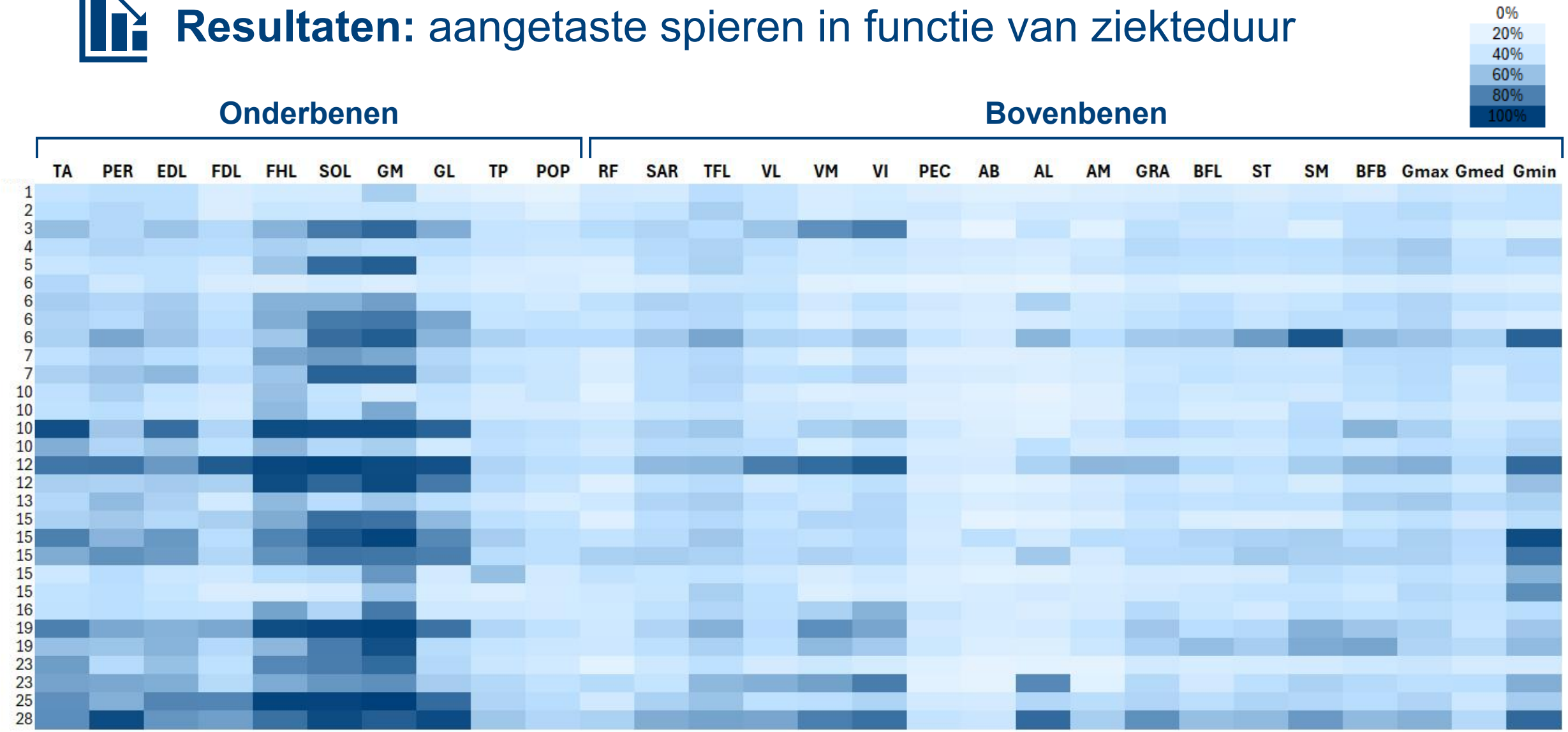
- DM1-patiënten scoren **minder goed** op **kracht en functie** testen dan controles
- DM1-patiënten hebben **meer vet** in de spieren dan controles
- Water T2 is verhoogd in DM1-patiënten, wat wijst op **actieve spier beschadiging**





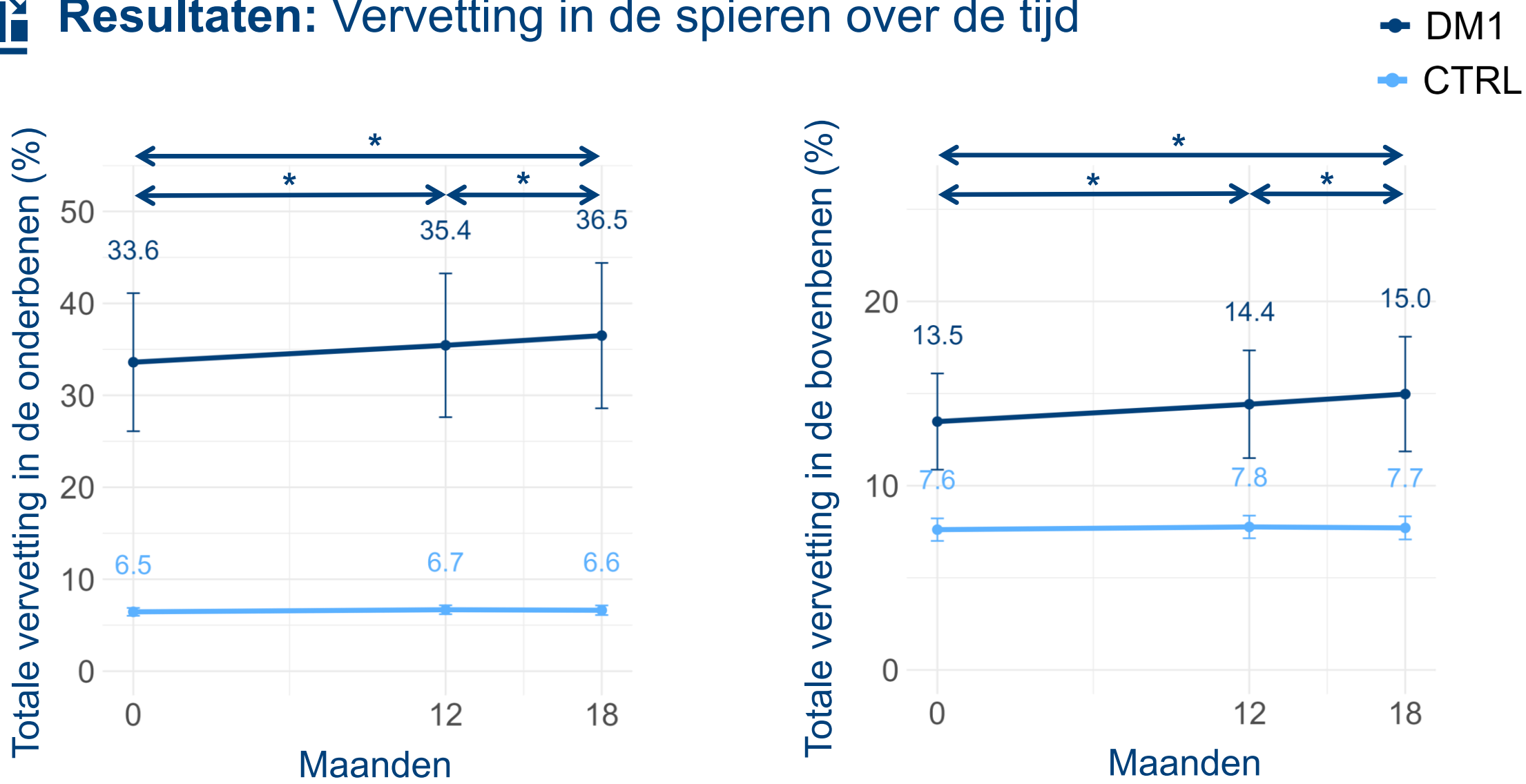
KU LEUVEN

Resultaten: aangetaste spieren in functie van ziekteduur



KU LEUVEN

Resultaten: Vervetting in de spieren over de tijd



KU LEUVEN

Resultaten: Klinische testen & vragenlijsten over de tijd

Klinische testen

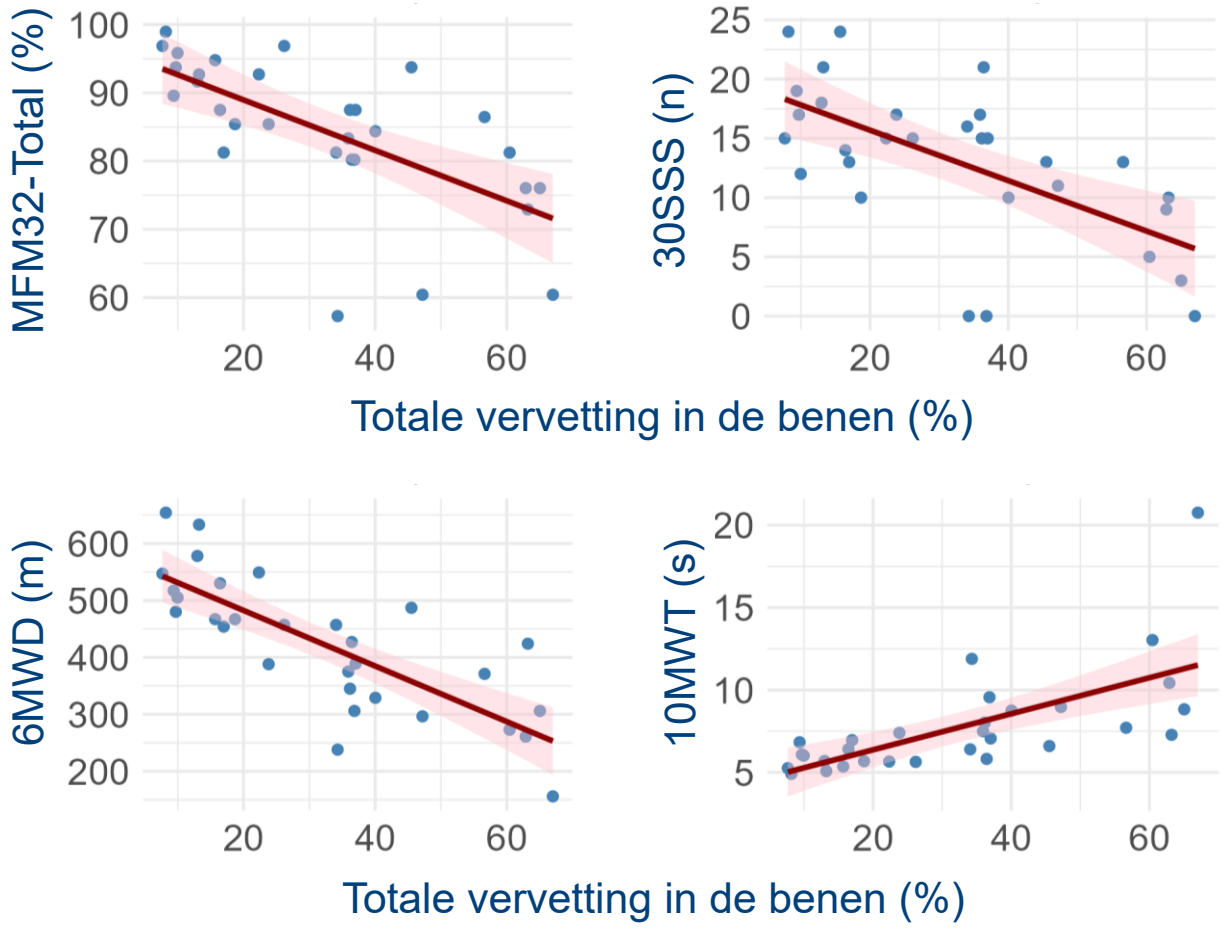
- Spierkracht (Manuele kracht test):
  Verminderd na 6 maanden **(-2.7 punten)**
- Motorische functie (MFM-32): Verminderd na 6 maanden **(-3.5 punten)**
- Wandelen (10 meter wandel test):
  Trager na 18 maanden **(+0.7 sec)**
- Handvaardigheid (9-hole peg test):
  Trager na 18 maanden **(+1.4 sec)**

Vragenlijsten

- Activiteit beperkingen:
  Verergeren na 12 maanden **(+ 4.8%)**
- Pijn:
  Neemt toe na 18 maanden **(+10.7%)**
- Levenskwaliteit:
  Verminderd na 12 maanden **(-4.5%)**

Resultaten: Hoe hangen MRI-metingen samen met functie?

Hoe **meer vervetting** in de been spieren, hoe **moeilijker** patiënten **bewegen en lopen**



Besluit

1. Het verloop van de ziekte is duidelijk in kaart gebracht d.m.v. MRI spieren:

We weten nu welke spieren het eerst veranderen en hoe die veranderingen verder evolueren doorheen de tijd

2. Vervetting van de spieren en motorische klachten hangen duidelijk samen:

We zien een sterke relatie tussen de vervetting van de spieren op MRI en het verlies aan kracht en motorische functies.

3. Betrouwbare manier om te meten:

De achteruitgang in kracht en functie kunnen we nu objectief meten, zelfs over relatief korte periodes (6 maanden)

Besluit – Wat dit voor u betekent

Natuurlijke verloop en meest gevoelige testen in kaart gebracht

Toekomstige therapieën kunnen sneller, betrouwbaarder en efficiënter worden getest

Kan de ontwikkeling en goedkeuring van nieuwe behandelingen hopelijk versnellen

Bedankt voor uw aandacht!

Laboratorium voor Spierziekten en Neuropathieën, KU Leuven & Dienst Neurologie, UZ Leuven

Prof. Dr. K. Claeys

M. Opsomer

L. Miguet

J. Cremers

F. Proost

B. Van Lancker

Spierziekten Vlaanderen

Voorzitter Carina Verdonk

Lennik – 13 december 2025

Spierziekten Vlaanderen

SPIERZIEKTEN
VLAANDEREN

Wie we zijn en wat we doen

Carina Verdonck
Voorzitter Spierziekten Vlaanderen

Over ons

- Spierziekten Vlaanderen is de Vlaamse patiëntenvereniging voor iedereen die leeft met een neuromusculaire aandoening – in de volksmond beter gekend als “spierziekten”
- We brengen lotgenoten en hun naasten samen. Zo zorgen wij er voor dat niemand met een spierziekte er alleen hoeft voor te staan.

- Als onafhankelijke vzw biedt Spierziekten Vlaanderen informatie, ondersteuning en een warm netwerk.

- We organiseren het hele jaar door ontmoetingsmomenten zoals provinciale activiteiten, familiedagen, themabijeenkomsten en lezingen.

- We zetten sterk in op lotgenotencontact, waar leden herkenning vinden en ervaringen en praktische tips met elkaar kunnen delen.

- En, niet te vergeten: ons driemaandelijks tijdschrift: Spierkracht. Daar wordt steeds naar uitgekeken.

- De vereniging werkt nauw samen met medische experten , de NMRC’s, om correcte, begrijpbare en actuele informatie rond diagnose, behandeling, zorg en onderzoek te delen.
- Via nieuwsbrieven, webinars, infobrochures en studiedagen blijven leden op de hoogte van wat er leeft in de neuromusculaire wereld.
- Ook via sociale media proberen wij mensen te bereiken om zo de vele verschillende diagnoses onder de aandacht te brengen.

- Wat ooit begon als een kleine groep ouders en patiënten die elkaar wilden ondersteunen, is vandaag uitgegroeid tot een professionele en warme organisatie.
- Met dezelfde gedrevenheid als toen blijven wij bij Spierziekten Vlaanderen bouwen aan solidariteit, kennisdeling en hoop – stap voor stap, samen sterk.
- Wij werken uitsluitend met vrijwilligers en zijn nog steeds een kleine groep maar werken hard om onze bekendheid te vergroten.

Campagne zichtbaarheid

- Op 26 november ging onze nieuwe campagne “onzichtbaar ziek, maak ons zichtbaar” van start.

- Kijk op onze website www.spierziektenvlaanderen.be om meer te weten.

Euro DyMA

Bas Haasakker

Lennik – 13 december 2025

What is Euro-DyMA?

"The voice of Myotonic Dystrophy patients in Europe"

Who Am I?

- Bas Haasakker
- 64 years (Late onset of DM1)
- 3 daugthers of which 2 has DM1 (Adult onset)
- Chair of Dutch Diagnosis group from Spierziekten Nederland
- Vice-president Euro-DyMa
- Operations Manager at Stryker Medical EEMEA

Our members (2025)

Missions and commitments

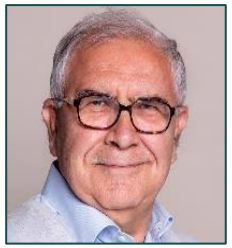
Our mission

- Bring the voice of DM patients everywhere it is needed in Europe
- Improve and harmonize awareness in the community (patients, research, industry)
- Highlight unmet medical needs
- Stimulate and aggregate collaboration between European patient organizations

Our commitments

- Transparency
- Volunteer engagement

Euro-DyMA and MD Europe scientific board

									
Pr. Benedikt Schoser Neurologist F. Baur Institut Munchen (Germany)	Pr. Baziel Van Engelen Neurologist Radboud University Nijmegen (Netherlands)	Pr. Darren Monckton Professor of Human Genetics University of Glasgow Glasgow (U.K.)	Dr. Ann-Berit Ekström Child Neurologist Pediatric Rehabilitation Center Gothenburg (Sweeden)	Pr. Giovanni Meola Neurologist University of Milan Milano (Italy)	Dr George Papadimas Consultant Neurologist University Hospital Athens (Greece)	Dr Guillaume Bassez Neurologist Institute of Myology Paris (France)	Dr Denis Furling Research Director Institute of Myology Paris (France)	Dr Stojan Peric Neurologist University of Belgrade Belgrad (Serbia)	Dr. Hilde Braakman Child Neurologist Radboud University Nijmegen (Netherlands)

Chair: Pr. Benedikt Schoser

What we do (a.o)

- Repurposing → SIMPATHIC (European Commission)
- Biomarkers brain/guts → SPAN-DM (Spain)
- ENMC workshops dedicated to DM
- Global Alliance Membership.
- Annual Pharma day (Together with MDF)
- Informal meetings with pharma
- Pharma Dialogue Group (dedicated sub-group
- European Medical Agency (dedicated sub-group
- ….
- ….

Vzw SED

Steinert Everybody Different

Bestuurder Carinne De Mesmaeker

Lennik – 13 december 2025

Waarom?

- Geboorte kleinzoon augustus 2022 -- diagnose congenitale MD
- Ziekte in familie (minimum 3 gekende generaties)
- MD was onbekend, ook bij dokters en zorgverleners
- Voor MD is geen medicijn
- Vzw werd opgericht begin 2023 met als doel:
  - fondsen verzamelen om te schenken aan wetenschappelijk onderzoek
  - de ziekte meer bekendheid te geven

Activiteiten

- Reeds 3 succesvolle edities van:
  - KOMEN ETEN: maart
  - HAPPENING: september
- 2025: jogging Dwars door Lennik
- Stands op jaarmarkt en kerstcorrida
- Verkoop gadgets en T-shirts

Komen eten

- 1300 hoofdgerechten
- 700 take away
- 1000 tombolaprijzen
- 80 vrijwilligers

PAIX DIEU
PAIX DIEU

SED Happening

- 400 wandelaars
- 750 bezoekers
- 140 ontbijten
- 30 vrijwilligers

HTDeville L.
HEIDEVELD 12 BUS 3 - 1654 HUIZINGEN
0493 70 06 42 - DAK.DEV.L.TOIT@GMAIL.COM
MD
(Steinert)
Doe mee!
Stop de grootste erfelijke spierziekte

Hartelijk
dank voor
jullie
steun !!!
SMD
Stichting Everybody Different
BRIGHTBOARD

STOP MD
STOP MD

Stratenloop (Lennikse feesten)

- Eerste editie
- 424 lopers (waaronder 86 kinderen)
- 40 vrijwilligers

537
437
visuals

1
2
3

runners' lab
runners' lab

BELGIUM
12

Andere

- Giften
- Acties door anderen georganiseerd

Activiteiten in 2026

- **KOMEN ETEN: vrijdag 27 tot en met maandag 30 maart**
- **SED (MD) HAPPENING: zondag 27 september**
- **JOGGING Dwars door Lennik: zaterdag 22 augustus**

Volg ons

- **Website: www.sed-md.be**
- **Facebook/Instagram: Steinert Everybody Different**

- **Nieuwsbrief (maart – juli – november)**

Stichting MD Europe

- Contact met lotgenoten hebben ons geleid naar Stichting MD Nederland
- Samenwerking
- Gift van in totaal 53.000 euro aan Stichting MD EU voor project ANIQ

Getuigenis van een MD-patiënt

Laura Wuyts

Lennik – 13 december 2025

1. INTRODUCTIE

- **Wie ben ik?**

- Laura Wuyts

- **Hoelang weet ik dat ik de ziekte heb?**

- Ongeveer 2 jaar.

2. WAAROM VERTEL IK MIJN VERHAAL?

- **1. Begrip**

- "Ik wil graag meer begrip creëren voor wat deze aandoening betekent in het dagelijkse leven."
- "Mijn ziekte is vaak onzichtbaar, en door mijn verhaal te delen wordt het zichtbaarder."

- **2. Om mijn ervaringen te delen**

- "Iedereen met Steinert beleeft de ziekte anders. Dit is hoe het voor mij is."
- "Mijn verhaal is persoonlijk, maar ik denk dat het voor velen herkenbaar kan zijn."

- **3. Om te laten zien dat je meer bent dan je ziekte**

- "Ik wil laten zien dat Steinert deel is van mijn leven, maar niet bepaalt wie ik ben."

3. HOE KWAM IN CONTACT MET DE ZIEKTE

- “Ik leerde de ziekte kennen door mijn papa. Als kind begreep ik het niet helemaal, maar ik zag wel dat hij soms dingen moeilijker had. Er werd thuis ook open over gepraat.”

4. HOE VERLIEP MIJN PROCES

- “Ik wist dat mijn papa de ziekte van Steinert had, en dat er een kans was dat ik het ook kon hebben. Jarenlang merkte ik kleine dingen, maar ik koppelde ze niet meteen aan de ziekte. Pas toen de klachten duidelijker werden, besloot ik om verder onderzoek te laten doen.”

5. WAT WAREN EN ZIJN MIJN SYMPTOMEN

- **Symptomen die ik had:**

- Vermoeidheid
- Moeilijk balonnen opblazen
- Darmklachten

- **Symptomen die ik nu heb**

- Darmklachten
- Vermoeidheid
- Moeilijk balonnen opblazen
- Verkramping handen en tenen

6. HET DIAGNOSE PROCES

- **Duur**

- 3 maanden

- **Welke onderzoeken**

- - Bloed onderzoek

- **Hoe voelde het om de diagnose te krijgen**

- “De dokters hadden me eigenlijk al voorbereid op wat er mogelijk aan de hand was. Toch bleef het lang wachten op de definitieve uitslag, en die periode was best zwaar. Ondanks alles wat ik al wist, blijft het toch even schrikken wanneer je het resultaat echt hoort.
Op dat moment wordt het ineens heel concreet, en besef je dat je leven toch een beetje verandert.”

7. BEHANDELING&ONDERSTEUNING

- **Welke zorg krijg je? (specialisten, kinesitherapie, hulpmiddelen…)**

- Elke week kine

- <u>Goede opvolging in het ziekenhuis door de volgende diensten:</u>

- Neurologie
- Cardiologie
- Neuromusculair centrum waar ze ondermeer sliktest doen, logopedisch onderzoek, kineopvolging

REVALIDATIEZIEKENHUIS INKENDAAL

Dr. Els Van Rossem
Gh-specialist Pediatrie – Kinderneurologie
Revalidatiearts

Lennik – 13 december 2025

inkendaal
revalidatieziekenhuis

Els Van Rossem
Gh-specialist Pediatrie – Kinderneurologie
Revalidatiearts

Myotone dystrofie in een revalidatieziekenhuis

Ingaan op hulpvragen van ouders en kind

Organisatiestructuur Revalidatieziekenhuis Inkendaal

Inkendaal
Koninklijke Instelling vzw

Revalidatieziekenhuis

- Privaatrechterlijk (vzw)
- Categoraal/gespecialiseerd Vlaams

Ziekenhuisschool

- Basisonderwijs: buitengewoon kleuter & lager onderwijs, BuBaO type 5

Sint-Goedele VZW Brussel

- BuSO OV4, T5 Cardijnschool-Inkendaal

inkendaal
revalidatieziekenhuis

Revalidatieziekenhuis Inkendaal

- Vlaams revalidatieziekenhuis
  - 178 bedden sp
    - 123 sp-neurologie
    - 30 sp-locomotorisch
    - 25 sp-cardiopulmonair
  - Ambulante afdeling volwassenen
  - Ambulante afdeling kinderen/jongeren: partiële daghospitalisatie (PDH) - ziekenhuisschool type 5
    - BuBao(80 lln.) & BuSO 12 lln.)
  - Centrum voor ontwikkelingsstoornissen (COS)
  - Referentiecentrum voor Neuromusculaire aandoeningen (NMRC)
  - Centrum voor Multidisciplinaire Testing (CMT)
  - Referentiecentrum voor Cerebral Palsy (CP)
  - Referentiecentrum voor Autisme (RCA)
  - Ademhalingsondersteuning thuis

hospitalisatieafdeling 0 – 18jr : 30 bedden: ziekenhuisschool Inkendaal / BuSO Cardijnschool

inkendaal
revalidatieziekenhuis

Missie partiële daghospitalisatie & Ziekenhuisschool Inkendaal

De partiële daghospitalisatie in samenwerking met ziekenhuisschool Inkendaal richt zich op een intensief, transdisciplinair revalidatieaanbod in combinatie met onderwijs en zorg, voor kinderen en jongeren met multidisciplinaire revalidatienoden die dreigen vast te lopen in de maatschappij en/of de schoolcontext.

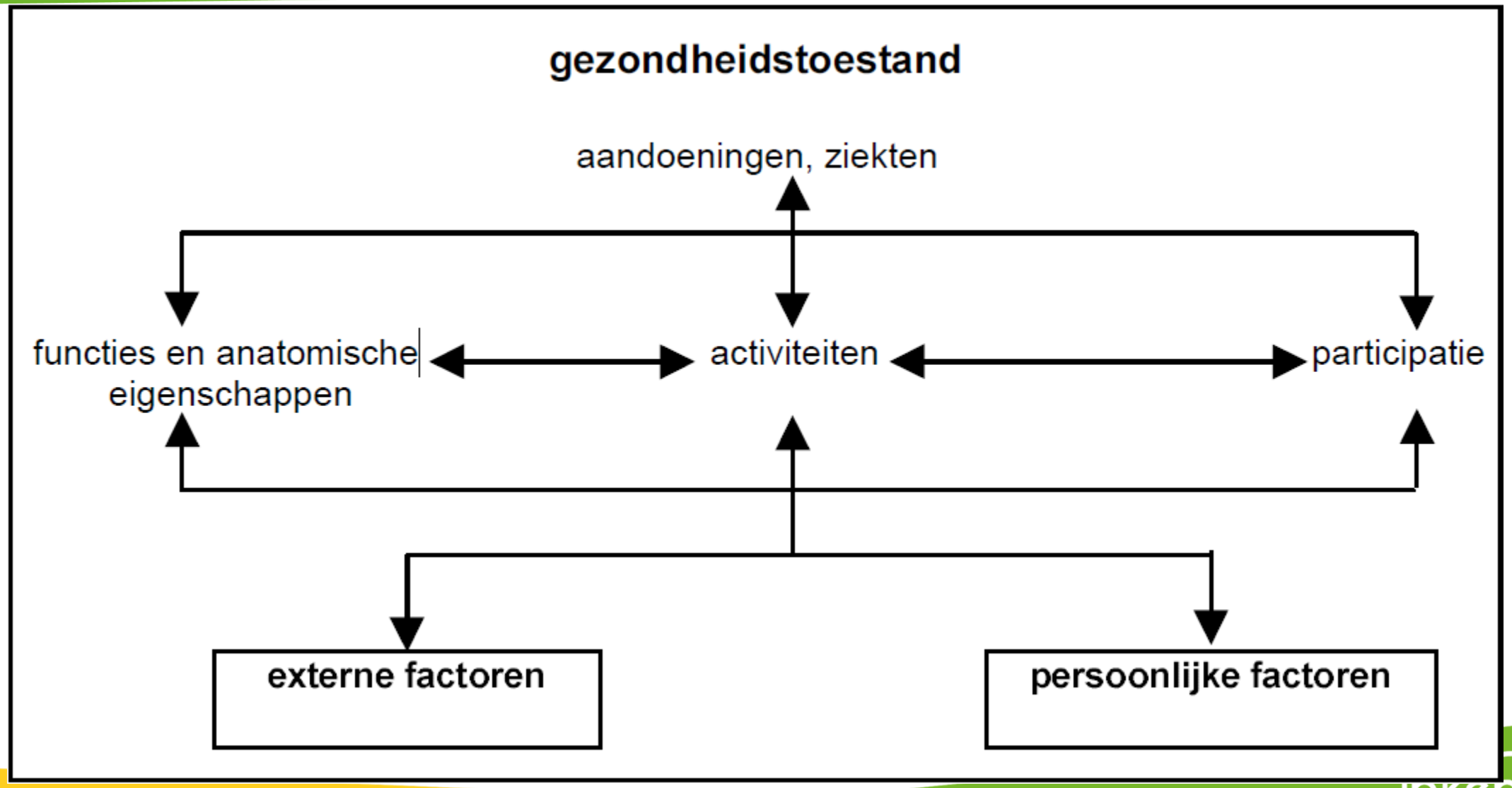
Doelstellingen

De participatiekansen verhogen met oog voor sociale integratie, optimale onderwijskansen en verhoogde zelfredzaamheid door:

- het bieden van intensieve therapeutische revalidatie, zorg en onderwijs in functie van de hulpvraag,
- het in kaart brengen van mogelijkheden, beperkingen en aanreiken van de nodige hulpmiddelen.
- een mogelijke heroriëntatie onderzoeken naar de correcte schoolcontext of andere setting.

inkendaal
revalidatieziekenhuis

Vanuit de ICF-gedachte



Inclusiecriteria ambulante kinderrevalidatie

Overkoepelende inclusiecriteria	- **Het kind heeft nood aan een multidisciplinaire therapeutische aanpak met een duidelijk omschreven hulpvraag.** - **Kinderen kunnen omgaan met prikkels in een groepswerking en een uitgebreid multidisciplinair team dat werkzaam is in de revalidatieklas.** - **Ouderparticipatie is mogelijk.** - **De kinderen staan open voor het leer- en therapeutisch aanbod dat hun wordt aangereikt.** - **Bereidwilligheid en haalbaarheid bij ouders om de Nederlandse taal machtig te worden is aanwezig.** - **Kinderen met complexe medische aandoeningen (canule, epilepsie, degeneratieve aandoeningen, respiratoir, …) die voldoende medisch stabiel zijn, kunnen binnen de aangeboden revalidatietrajecten opgenomen worden, indien er duidelijke intensieve revalidatiedoelstellingen aanwezig zijn.** ⇨ **Er wordt een observatieperiode van 8 weken gehanteerd, om na te gaan of de partiële daghospitalisatie de juiste setting is voor het kind (m.b.t. de praktisch/organisatorische werking binnen de groepswerking, leerbaarheid, afwezigheden, gedrag).**
Afwezigheid	- Kinderen kunnen 8 niet aaneensluitende weken afwezig zijn gedurende een revalidatiejaar, indien de afwezigheden ook voor het departement onderwijs kunnen gestaafd worden of er een alternatief schools traject is. Gedurende de maanden juli en augustus mag het kind slechts 4 weken afwezig zijn.
Onderwijs	- Binnen de revalidatietrajecten wordt in nauwe samenwerking met behandelteam van het revalidatieziekenhuis onderwijs georganiseerd: ○ Basisschool: BuBaO T5 Inkendaal
Zorg	- Binnen de partiële daghospitalisatie wordt ondersteuning door zorgkundigen en verpleegkundigen geboden. - Er is continu medisch toezicht door een arts.

Therapie	- Beschikbare therapeutische disciplines:
	  ○ Kinesitherapie (motorisch en respiratoir)
	  ○ Logopedie (communicatie, schoolse vaardigheden, eten,…)
	  ○ Ergotherapie (hulpmiddelen, spelontwikkeling, fijnmotorische vaardigheden)
	  ○ Psychotherapie
	  ○ Conductieve pedagogie
	  ○ Dieet
	  ○ Sociaal-maatschappelijke ondersteuning

Casus 1

- Jef
  - Premature geboorte op PML 34 weken, overmaat vruchtwater en klompvoeten
  - Hypotone zuigeling, diagnose van congenitale myotone dystrofie
    - In acuut ziekenhuis ademhalingsondersteuning met high flow en neussonde voor voeding
    - Opname in Inkendaal op leeftijd van 1 maand :
      - opstarten IPV, afbouwen high flow naar neusbril met zuurstof, starten met voeding via de mond
      - ontslag op leeftijd van 3 maanden, volledig voeding via de mond en enkel zuurstof 0,5 l via neusbril
      - hulpmiddelen thuis
      - ingreep klompvoeten
    - Start ambulante therapie op leeftijd van 8 maanden
      - hulpvragen: ouders willen vooral dat hij zich goed voelt, dat hij respiratoir stabiel is, spraak met SMOG opstarten, voeding uitbreiden.
      - was aanvankelijk veel ziek, nadruk op respiratoire kine
      - Hulpvragen op leeftijd van 20 maanden: leren stappen
      - Stapte buiten op leeftijd van 30 maanden !

Casus 2

- Rune
  - Aterme geboorte, axiale hypotonie, doorverwezen naar NIZ, diagnose Steinert
  - Aanmelding Inkendaal 7 maanden, start op leeftijd van 12 maanden
  - Hulpvraag bij aanmelding : motorisch sterker worden, algemeen stimuleren, (kan dan kort alleen zitten, leert brokjes eten)
  - Zitschaal kan na enkele maanden worden afgebouwd, tactiele afweer, leert stappen met SMO’s (en een valhelm) (en Kaye-walker), SMOG; eerste winter veel ziek
  - Regulier onderwijs ? Wordt uitgesteld, vooral leren assertiever te worden, taal en spraak nog uitbreiden
  - Start regulier onderwijs september 2026 ?? Wordt voorbereid

Overzicht medicijnontwikkeling en de lopende trials

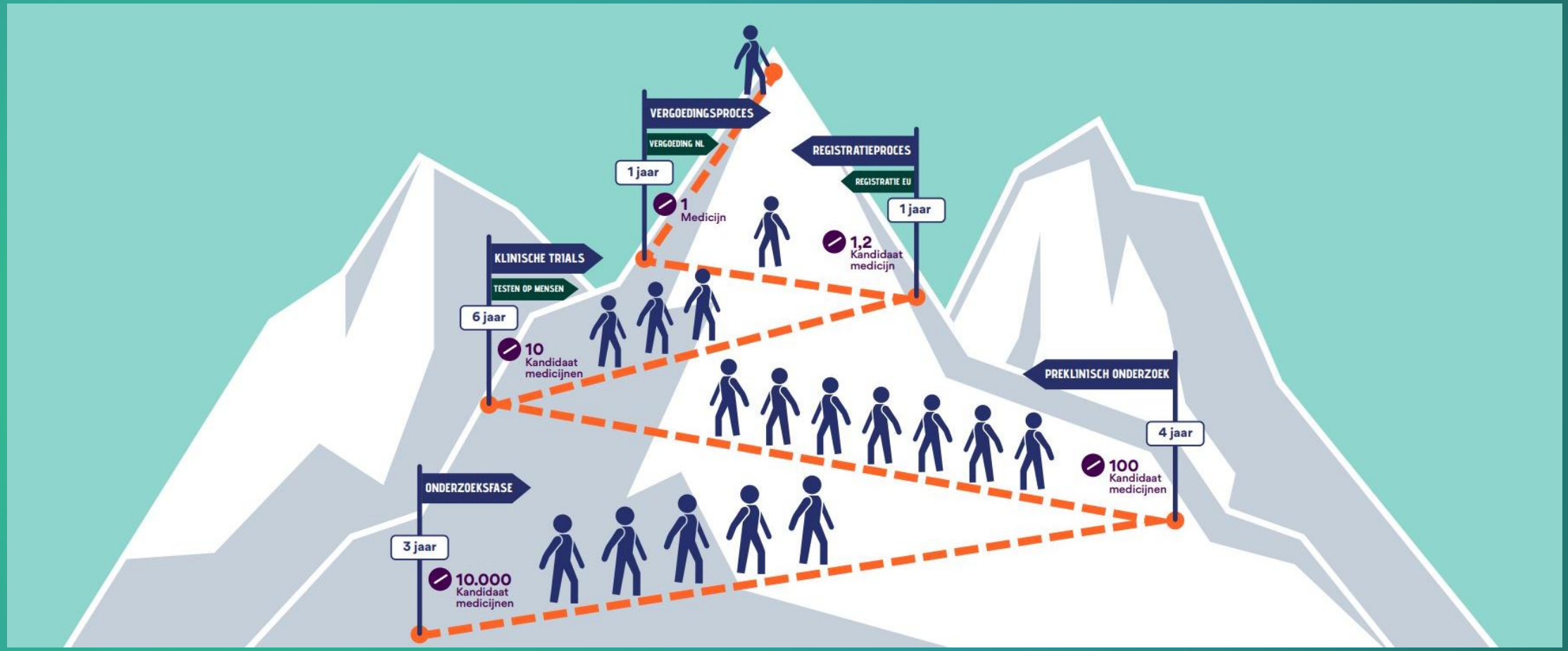
Jorg Van Gent (voorzitter MD stichting EU)
Dr. Hilde Braakman (Kinderneuroloog)

Lennik – 13 december 2025

papendal
hotel • sport • congres
NOC • NSF
voel de energie!

BEST

Medicijnontwikkeling: de lange weg de top



Afbeelding van Beatrix Spierfonds

Perspectief voor MD verandert snel

PIJPLIJN NOVEMBER 2018

IONIS PHARMACEUTICALS

AMO PHARMA

EXPANSION THERAPEUTICS

Nieuwe start-up, met USD 55m funding van vooraanstaande investeerders

Myotonic Dystrophy Drug Development Pipeline - July 2025

COMPANY	PROGRAM/ LEAD CANDIDATE	MODALITY	DM SUBTYPE	PRE-CLINICAL	PHASE 1	PHASE 2	PHASE 3	DRUG TARGET/ MECHANISM	PRESS RELEASES & MORE	MDF CONFERENCE INDUSTRY UPDATE	MDF MEET-THE-DM-DRUG-DEVELOPERS
AMO Pharma Ltd	Tideglusib	Small Molecule	CDM / DM1	AMO				Glycogen synthase kinase 3 beta (GSK3ß)	AMO Pharma News	2024 Industry Update	2023 Webinar
Avidity Biosciences	AOC 1001 del-desiran	Antibody Conjugated Oligonucleotide	DM1	AVIDITY				DMPK	Avidity News	2025 Industry Update	2024 Webinar
Lupin Neurosciences	Mexiletine	Small Molecule	DM1 / DM2	LUPIN NEUROSCIENCES				Sodium Channels	Lupin News	2025 Industry Update	2024 Webinar
Harmony Biosciences	Pitolisant	Small Molecule	DM1	HARMONY BIOSCIENCES				Histamine-3 receptor (H3R)	Harmony News	2023 Industry Update	2022 Webinar
Dyne Therapeutics	Dyne 101	Antibody Fragment Conjugated Antisense Oligonucleotide	DM1	Dyne				DMPK	Dyne News	2025 Industry Update	2025 Webinar
ARTHEx Biotech	ATX-01	Antisense microRNA Oligonucleotide	DM1 / DM2	ARTHEx BIOTECH				MBNL and DMPK via miR-23b	ARTHEx News	2025 Industry Update	2024 Webinar
Vertex	VX-670	Peptide Conjugated Oligonucleotide	DM1	VERTEX				DMPK	Vertex News	2025 Industry Update	
PepGen	PGN-EDODM1	Peptide Conjugated Antisense Oligonucleotide	DM1	PepGen				DMPK	PepGen News	2025 Industry Update	2024 Webinar
Sarepta	SRP-1003	Investigational RNA interference (RNAi) Therapeutic	DM1	SAREPTA				r(CUG) of DMPK	Sarepta News		
Sanofi	--	miRNA Technology in Adeno-Associated Virus	--	sanofi				DMPK	Sanofi News	2025 Industry Update	
Juvena Therapeutics	JUV-161	Stem Cell-Secreted Proteins	DM1	Juvena				--	Juvena News	2025 Industry Update	2024 Webinar
Arrakis Therapeutics	--	RNA-targeted Small Molecule (rSM)	DM1	arrakis				DMPK	Arrakis News	2025 Industry Update	
Rgenta Therapeutics	PMS1	Small Molecule	DM1	Rgenta				r(CUG) of DMPK	Rgenta News	2023 Industry Update	
Astellas Gene Therapies	AT466	Adeno-Associated Viral Antisense	DM1	astellas				DMPK	Astellas News		
Modalis Therapeutics	MDL-202	AAV mediated CRISPR base DMPK silencing	DM1	MODALIS				DMPK	Modalis News	2025 Industry Update	
EditForce, Inc.	EF-210	Gene Transfer based Delivery of Pentatricopeptide Repeat Protein	DM1	EditForce				r(CUG) of DMPK	EditForce News		

Pharmabedrijf Dyne Therapeutics

Monica Fay
Chief Medical Affairs Officer

Lennik – 13 december 2025

Dyne's Commitment to DM1 & Zeleciment basivarsen Clinical Update

("z-basivarsen", also known as DYNE-101)

13 December 2025

Joachim, *living with DM1*

DYNE-101, also known as Zeleciment basivarsen, is investigational or otherwise in development and has not been approved as safe or effective by the US FDA, EMA, or any other regulatory authority

Summary of MAD-portion of ACHIEVE Study

ACHIEVE

- Investigational z-basivarsen had a favorable safety profile in the Ph 1/2 MAD portion of the study
- Multisystem improvement in function and strength has been observed with z-basivarsen
- Patients on treatment reported that their disease had improved
- ACHIEVE Study continues to recruit qualified subjects ClinicalTrials.gov ID NCT05481879 https://clinicaltrials.gov/study/NCT05481879

THANK YOU to all ACHIEVE MAD participants, families, clinical trial sites!

The FORCE platform and z-basivarsen are investigational or otherwise in development and have not been approved as safe or effective by the FDA or any other regulatory authority.

[a]Data as of April 23, 2025.

CNS, central nervous system

Sansone V, et al. Poster presentation at the Annual International Congress of the WMS, Vienna, Austria, October 7–11, 2025. Poster 380P.

Dyne THERAPEUTICS

Thank you to our study participants, the DM1 Community, and our clinical trial sites for your participation, input & feedback

Questions or want to connect?

Contact us: ClinicalTrials@Dyne-Tx.com

Toelichting van het project ANIQ

Dr. Hilde Braakman (Kinderneuroloog)
Jorg Van Gent (voorzitter MD stichting EU)

Lennik – 13 december 2025

Waarom Project ANIQ

1. Uitgebreide onderzoek naar kinderen met MD

Binnen MD, een onderontwikkeld gebied

2. Meten wat relevant is voor patienten

Gestructureerd meten en selecteren wat te meten vergemakkelijkt later toelating proces

3. Kans om MD breder bekender te maken

Makkelijk uit te leggen (“*Dit is voor onze kinderen, zodat medicatie voor deze meest getroffen groep ook beschikbaar komt*”)

14-15 April 2025
Munich, Germany

mbw Medienberatung der Wirtschaft Munich, Germany

Euro DM CRN

Kick-off Meeting of the European Clinical Research Network for Myotonic Dystrophies

Project ANIQ

ANIQ-DM project

A Natural history study to **I**nvestigate clinical outcomes and **Q**uality of life in children with **DM**1

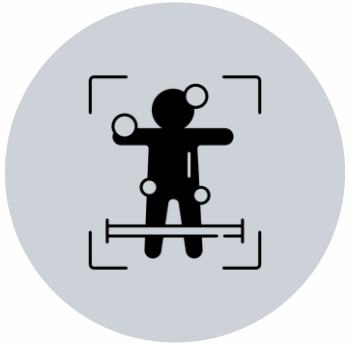
Hilde Braakman, Ingemar Merkies, John Day & Jorg van Gent

on behalf of the ANIQ consortium

Kinderen zijn geen Kleine volwassenen

Meest ernstige problemen:

- Babyvorm (*congenital myotonic dystrophy*)
- Kindervorm (*childhood-onset myotonic dystrophy*)



Heel veel verschillende klachten:

- Verstandelijke vermogen
- Gedrag
- Darmproblemen
- Spraak, kauwen en slikken

Trials voor volwassenen worden omgebouwd voor kinderen.
Maar we zijn er niet klaar voor!

- Inzicht in natuurlijkbeloop
- Selectie van relevante zogenaamde “*endpoints*”

Onze nachtmerrie

Medicatie werkt, **maar we kunnen dat niet bewijzen**

- Verkeerde uitkomstmaten
- Geen bewezen test om te bewijzen dat het werkt

Doelstelling van de studie (formele omschrijving)

Clinical endpoints and biomarkers that reflect (1) CNS, (2) motor function, (3) GI and other organ functions and (4) quality of life

F**ramework for personalized outcome development**

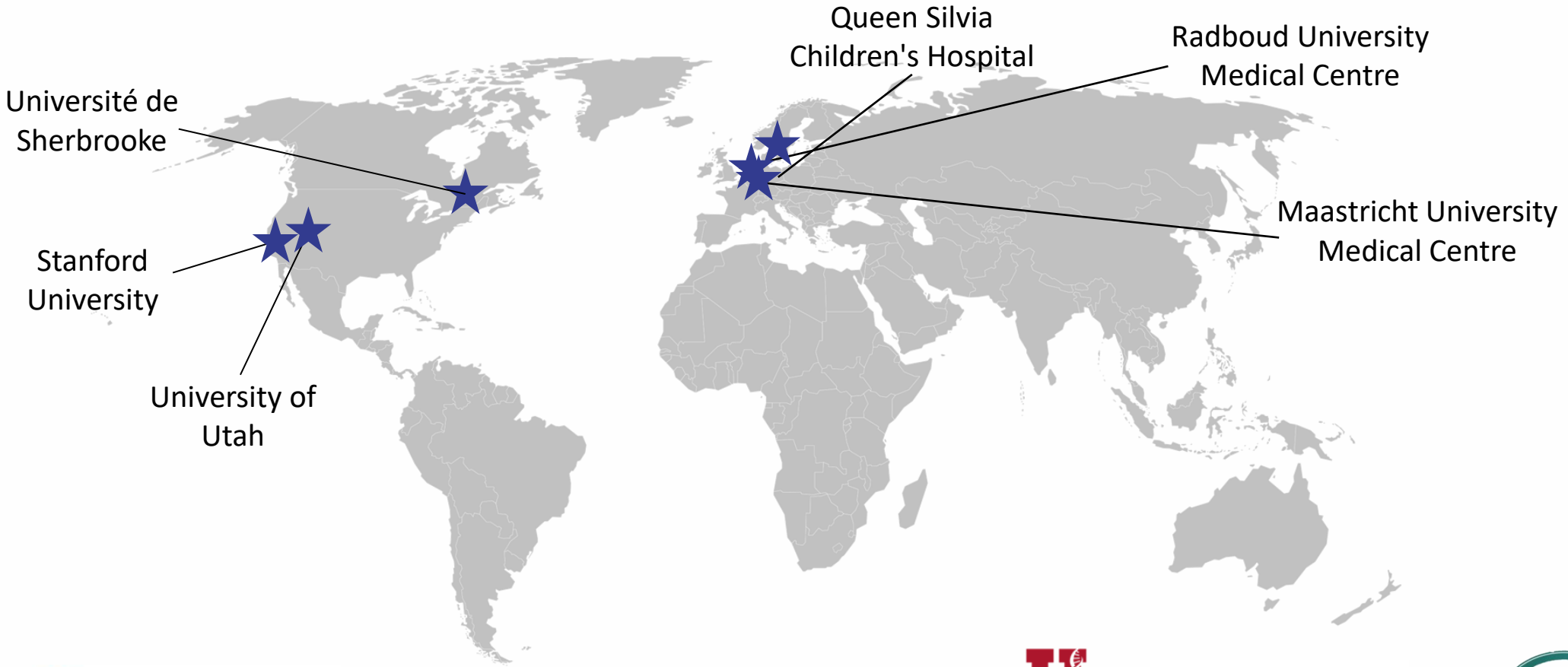
Feasibility of biological and digital surrogate outcomes to support accelerated approval

Project ANIQ

Welke patienten willen we includeren

- Kinderen van 0-24 jaar
- Klinische diagnose en genetisch bewijs van CDM or ChDM
- Instaat en bereid om mee te doen aan de studie en het bijhorende protocol en procedures

Betrokken locaties (open voor meer!)



Maastricht UMC+ More knowledge, better life

UDS Université de Sherbrooke

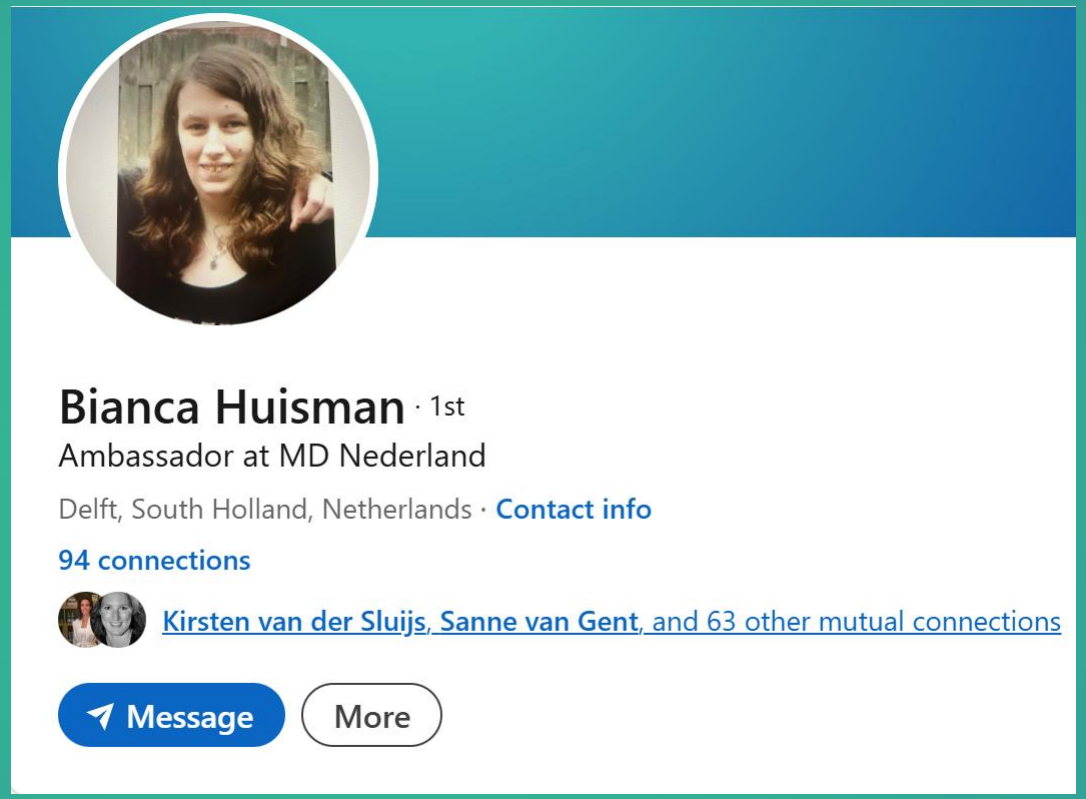
Radboudumc

HEALTH UNIVERSITY OF UTAH

Stanford MEDICINE

Project ANIQ

Volg ons op LinkedIn!



VOOR STROOPWAFELS, TEGEN MD

B

Stroopwafels verkopen voor Md

Bianca Huisman

Scan de QR-code & doneer

Afsluiting

Lennik – 13 december 2025