



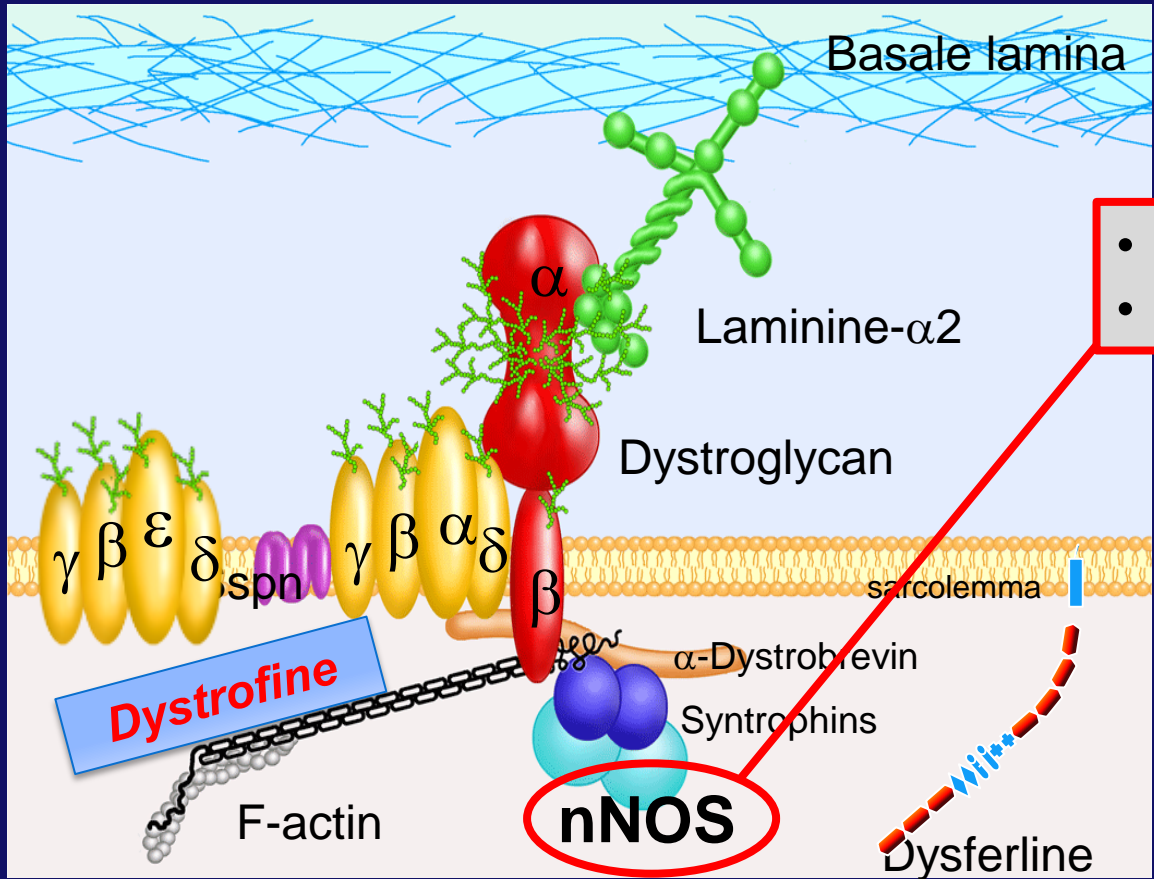
LEIDS UNIVERSITAIR MEDISCH CENTRUM

# *Klinische trials*

Erik Niks, kinderneuroloog  
Chiara Straathof, neuroloog

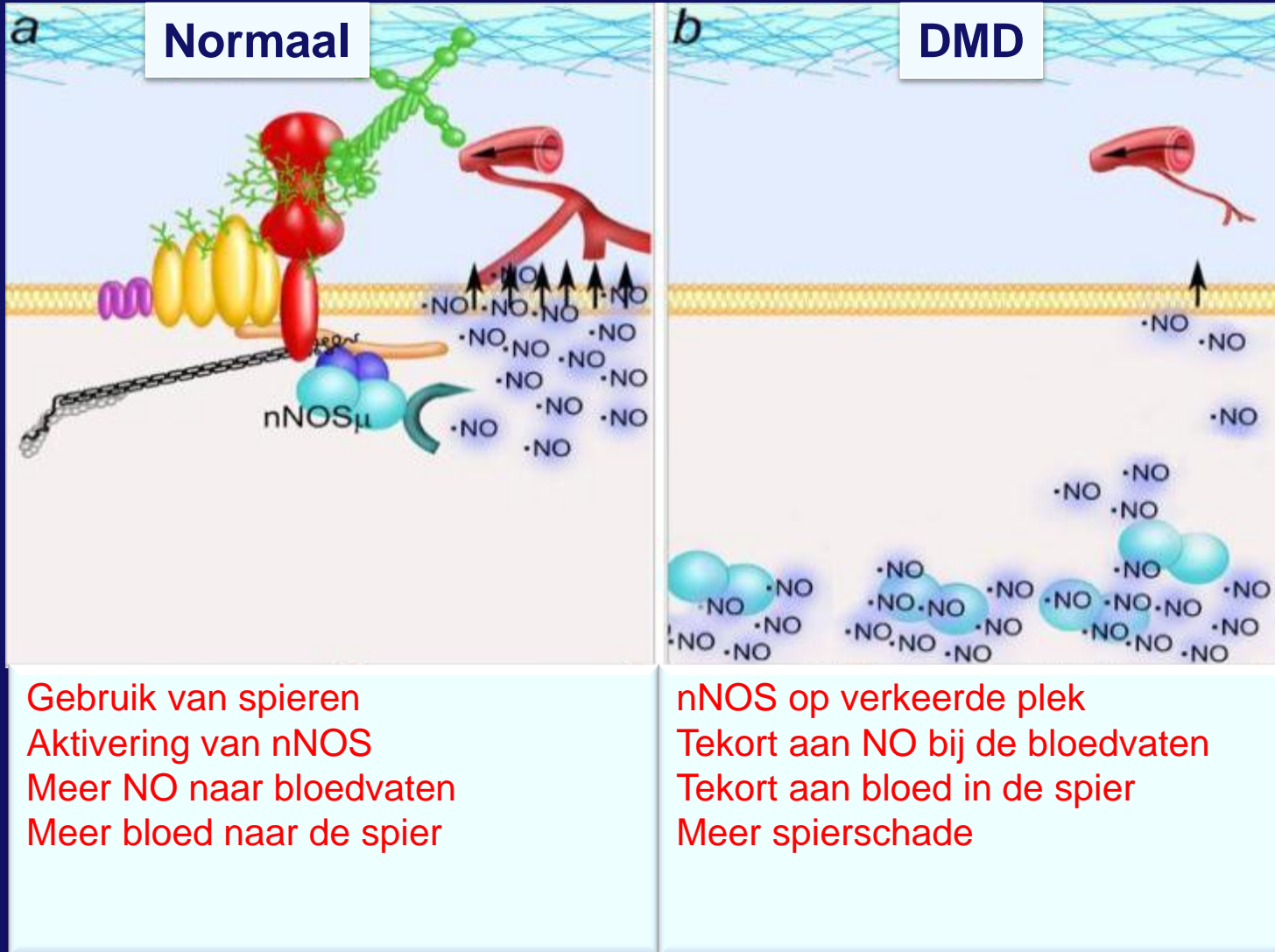


*nNOS: neuronal nitric oxide synthase*

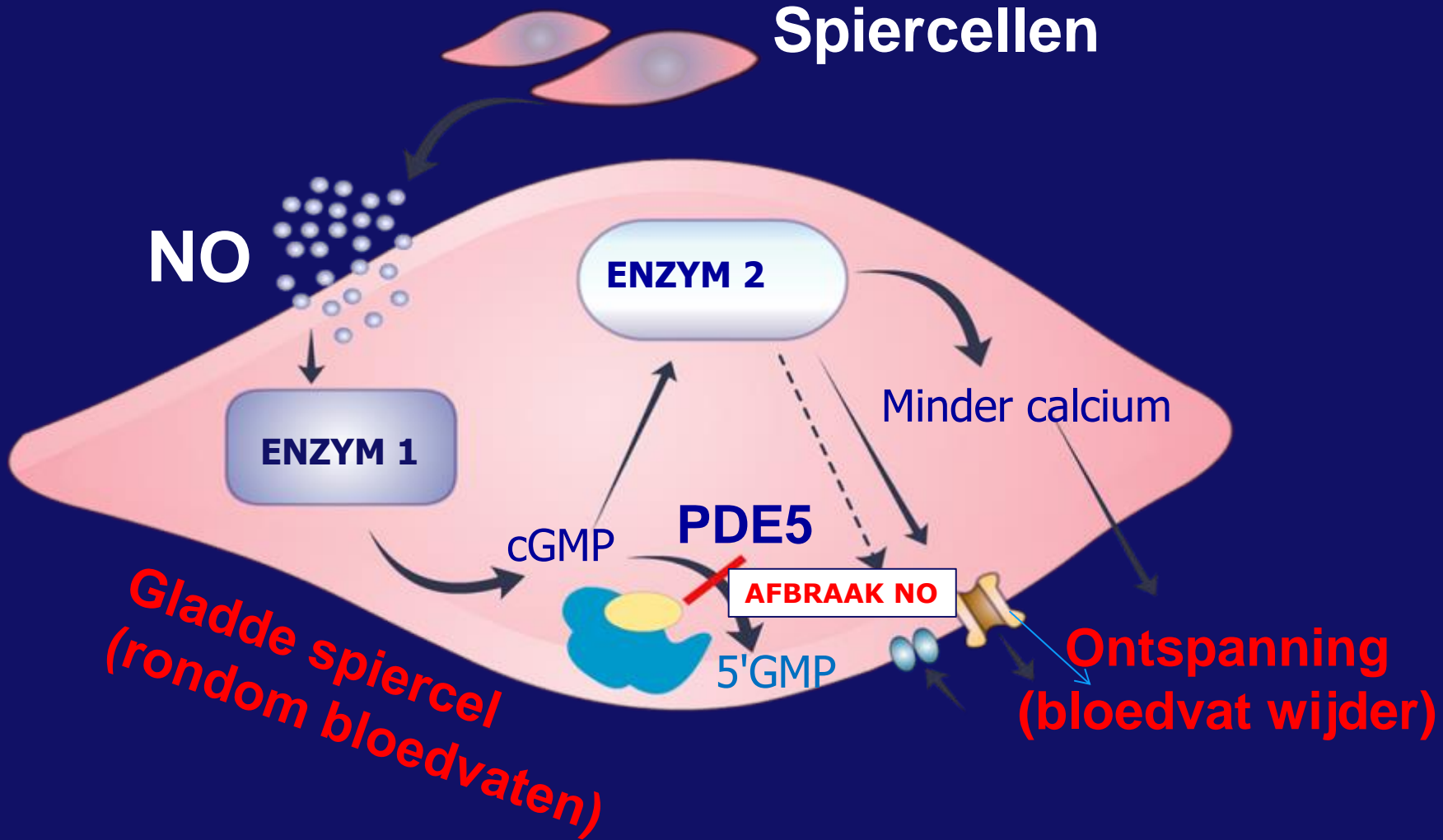


- Maakt stikstofoxide (NO)
- Verbonden met dystrofine

*Hypothese: hoe zou het kunnen werken?*



*Tadalafil: remt PDE5 – remt afbraak NO – meer NO*



# Betere doorbloeding in testopstelling

## Neurology®

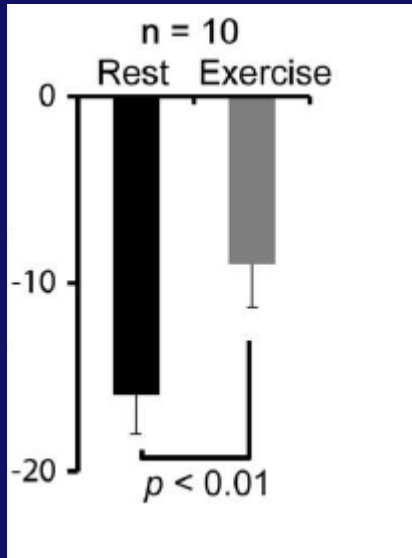
### PDE5 inhibition alleviates functional muscle ischemia in boys with Duchenne muscular dystrophy

Michael D. Nelson, Florian Rader, Xiu Tang, et al.

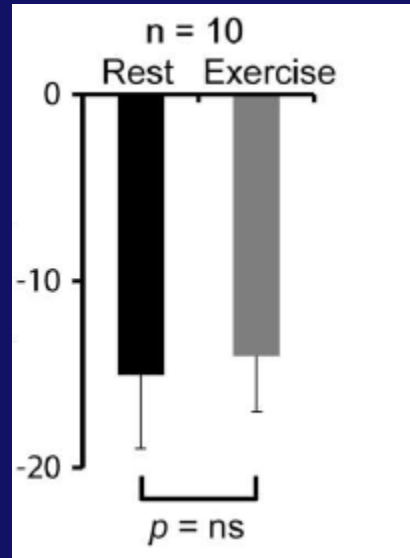
Neurology 2014;82:2085-2091 Published Online before print May 7, 2014



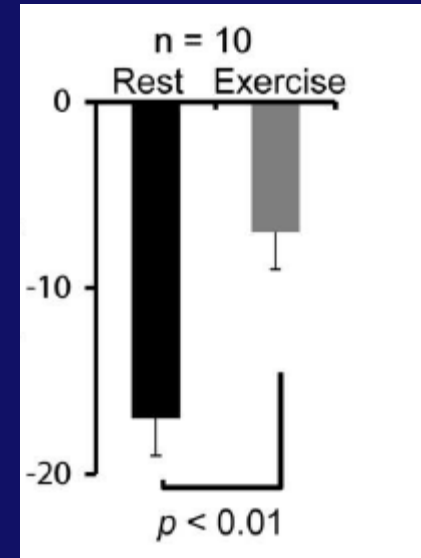
Doorbloeding



Controle



Duchenne



Duchenne + tadalafil

## *Trial: helpt het om beter te lopen ?*

- Tabletten 1 maal daags
- 48 weken
- Placebo en twee doseringen:  
0,3 mg/kg en 0,6 mg/kg
- 6 minuten looptest voor en na
- 7 tot 14 jaar
- Onafhankelijk van de mutatie
- 62 centra wereldwijd
- Nijmegen en Leiden

