

Étude de validation de la Mesure de Fonction Motrice (MFM-20) pour les enfants de 2 à 7 ans porteurs d'une maladie neuromusculaire

C Payan, C de Lattre, C Bérard,
Institut de Myologie
L'Escale service de MPR pédiatrique Lyon

Historique

- Objectif initial: valider la MFM telle quelle, avec une version réduite adaptée au jeune enfant (temps de passation plus court).
- Dans un premier temps: évaluation des conditions de passation et les résultats de l'échelle chez des jeunes enfants sains (191 évalués par 4 kinésithérapeutes).
- En effet, certains items n'ont pu être cotés en score maximal car trop « difficiles » pour un enfant en cours de développement psychomoteur.
- En éliminant les items échoués (<80% de cotations 3), on a défini une **MFM réduite à 20 items** :
 - D1 (8 items),
 - D2 (8 items),
 - D3 (4 items)

Historique

- Conception de l'étude

Etude multicentrique non interventionnelle

Etude transversale

Si les qualités psychométriques de l'outil sont confirmés, les patients sont réévalués un an après (*sensibilité au changement*).

Etude de reproductibilité inter- et intra observateur

Validité du construit: vérifier les 3 dimensions, la cohérence interne, corrélations avec autres paramètres (appréciations globales du médecin, grades fonctionnels)

Validité discriminante: selon diagnostic, sévérité globale jugée par médecin, état ambulatoire

Historique

10 centres investigateurs français + 3 étrangers:

- Garches
- Villeneuve d'Ascq
- Lyon
- Montpellier
- Nancy
- Pen Bron
- Paris (Institut de myologie)
- Nice
- Toulouse
- St Etienne
- Lausanne (Suisse)
- Bruxelles et Louvain (Belgique)

Méthodologie

Critères d'inclusion:

- Patients des 2 sexes,
 - $2 \text{ ans} \leq \text{âge} < 7 \text{ ans}$
 - diagnostic confirmé ou examens complémentaires très en faveur d'une maladie neuromusculaire (Biopsie musculaire positive, EMG significatif)
 - dystrophies musculaires progressives
 - dystrophies musculaires congénitales
 - myopathies congénitales
 - dystrophies myotoniques congénitales (Steinert, ...)
 - amyotrophies spinales infantiles
 - neuropathies sensitivo-motrices héréditaires
- (cf classification des maladies neuromusculaires, Repère myoline, AFM, 2007)

Méthodologie

Critères de non inclusion:

- Patients susceptibles d'être atteints d'autres pathologies neuromusculaires : myopathies métaboliques (mitochondriales, lipidoses et glycogénoses musculaires), myasthénie et syndromes myasthéniques, neuropathies chroniques non héréditaires,...
- ayant une contre-indication médicale à la mesure des fonctions motrices : maladie intercurrente ou acte chirurgical récent retentissant sur la fonction motrice (avis de l'investigateur),
- ayant un trouble majeur de compréhension ou de comportement rendant impossible la mesure des fonctions motrices (avis de l'investigateur ou du kinésithérapeute évaluateur)

Méthodologie

- Critère d'évaluation principal: MFM-20
- Critères d'évaluation secondaires
 - **Impressions cliniques globales (CGI)**
 - . Évaluation *de la sévérité globale* de l'atteinte motrice:
 - échelle visuelle analogique (EVA)
 - selon l'échelle à 4 points “ légère ”, “ modérée ”, “ sévère ”, “ très sévère ”
 - . Evaluation *de la sévérité de l'atteinte dans chacune des 3 dimensions* de l'échelle à l'aide d'une EVA (de “ nulle ” à “ extrêmement sévère”).
 - **Grade de Vignos** (marche)
 - **Grade de Brooke** (membres supérieurs)

Methodologie

- Calendrier

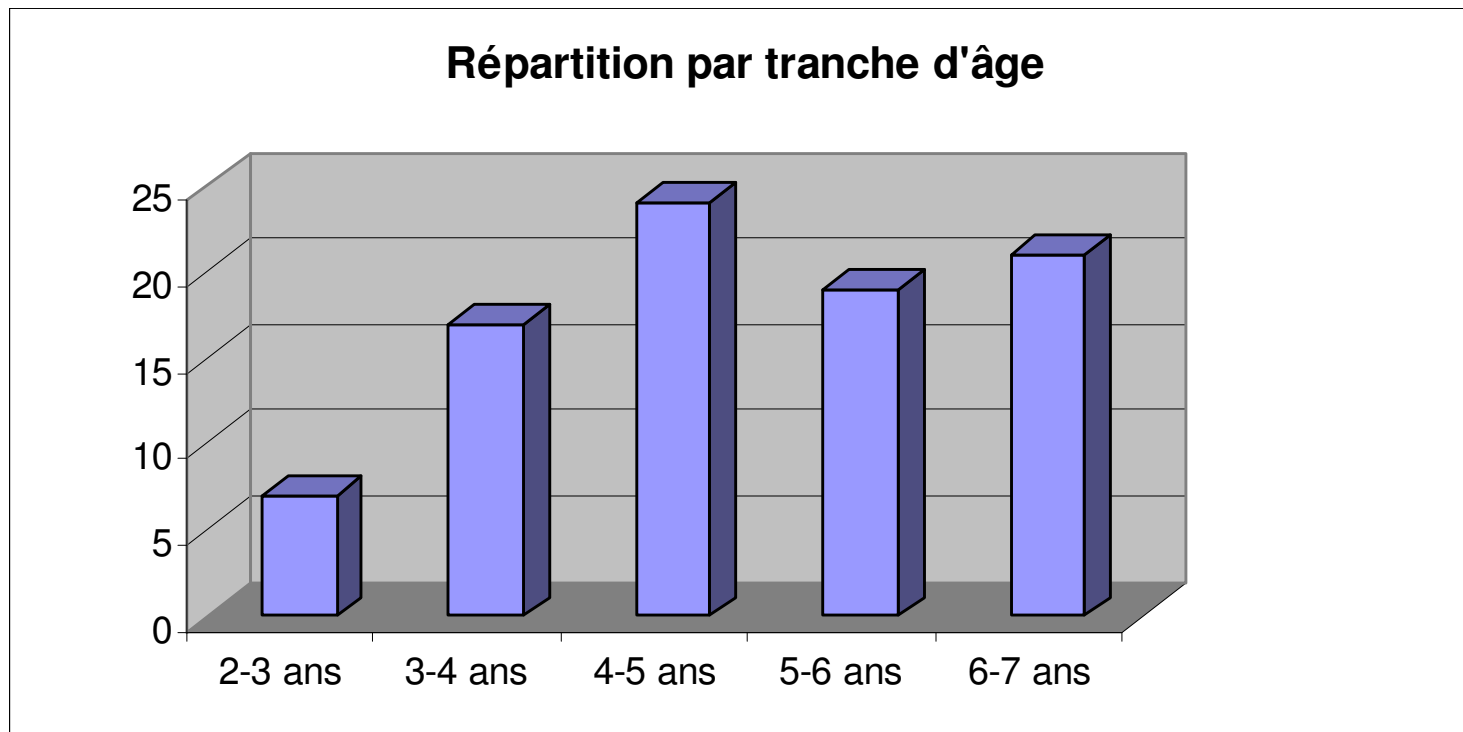
Le recrutement a été réalisé sur une durée de 12 mois: du 01 avril 2008 au 31 mars 2009.

Sensibilité au changement en cours.

Résultats: Population

- 88 enfants inclus de 2 à 7 ans
- Age moyen 4,8 +- 1,3 ans
- 31% filles, 69% garçons (DMD++)
 - 25% (N= 28): DM Duchenne
 - 19,5% (N= 22): ASI
 - 11,5% (N= 13): CMT
 - Autres : Myopathies congénitales (9), Dystrophies musculaires congénitales (8), DM Becker (3), Autre DM Progressive (3), DM Steinert (1)

Résultats: Population



Résultats: Population

Evaluation de la sévérité globale de l'atteinte motrice (CGI) selon le médecin:

- 40% faible
- 28% modérée
- 24% sévère
- 7% très sévère

Résultats: Passation de l'échelle

Durée de passation moyenne: 26 ± 8.5 minutes (12-50)

Pas de relation avec l'âge de l'enfant.

2/88 (2%): coopération nulle

33/88 (38%): coopération moyenne

53/88 (60%): coopération optimale

La coopération ne dépend ni de l'âge, ni du type de pathologie.

Résultats: Reproductibilité

La fiabilité inter-observateur (N= 34) est bonne.

- Coefficients kappa de Cohen acceptables à excellents pour tous les items (0.37 à 0.94) sauf n°14 (relever la tête assis) (0.22)

La fiabilité intra-observateur (N=17) est très bonne

Coefficients kappa de Cohen acceptables à excellents pour tous les items (0.56 à 1)

Coefficients de corrélation intra-classe (ICC) excellents dans les deux cas (0,91-0,99) pour le score total et les 3 sous-scores dimensionnels

Résultats: Validité du construit

L'analyse factorielle

Les 3 dimensions connues (D1, D2 et D3) sont retrouvées.

La consistance interne des 3 dimensions et score total

Le coefficient alpha de Cronbach est très bon pour D1 et D2 et score total ($>0,90$), et acceptable pour D3 ($>0,69$)

Résultats: Propriétés psychométriques

La validité convergente

Bonne corrélation du score total (0,74-0,79) avec le degré de sévérité de l'atteinte motrice évalué par le médecin (CGI et EVA)

Bonne corrélation de D1 avec le grade de Vignos (-0.86)

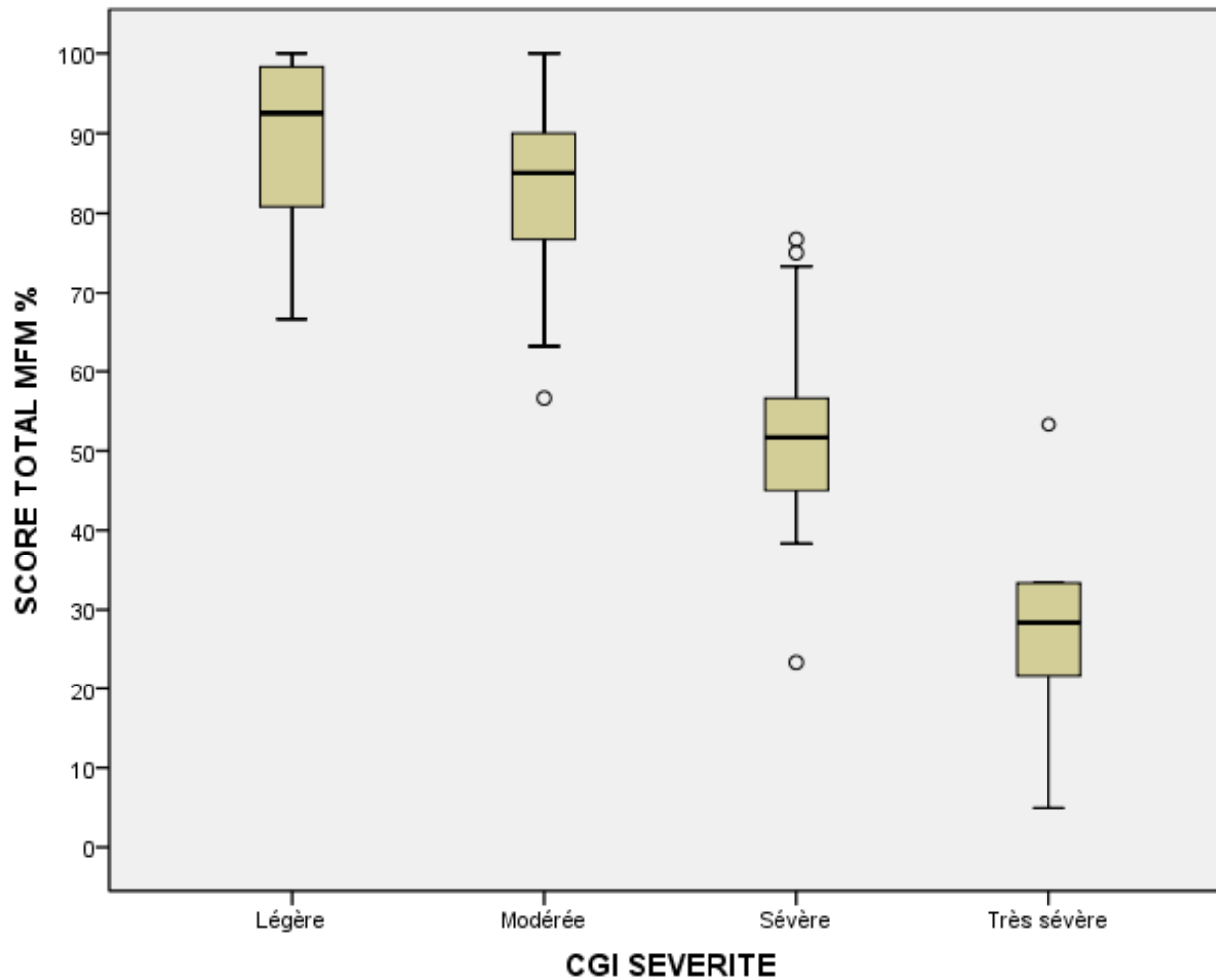
Bonne corrélation de D2 avec le grade de Brooke (-0.69)

La validité discriminante

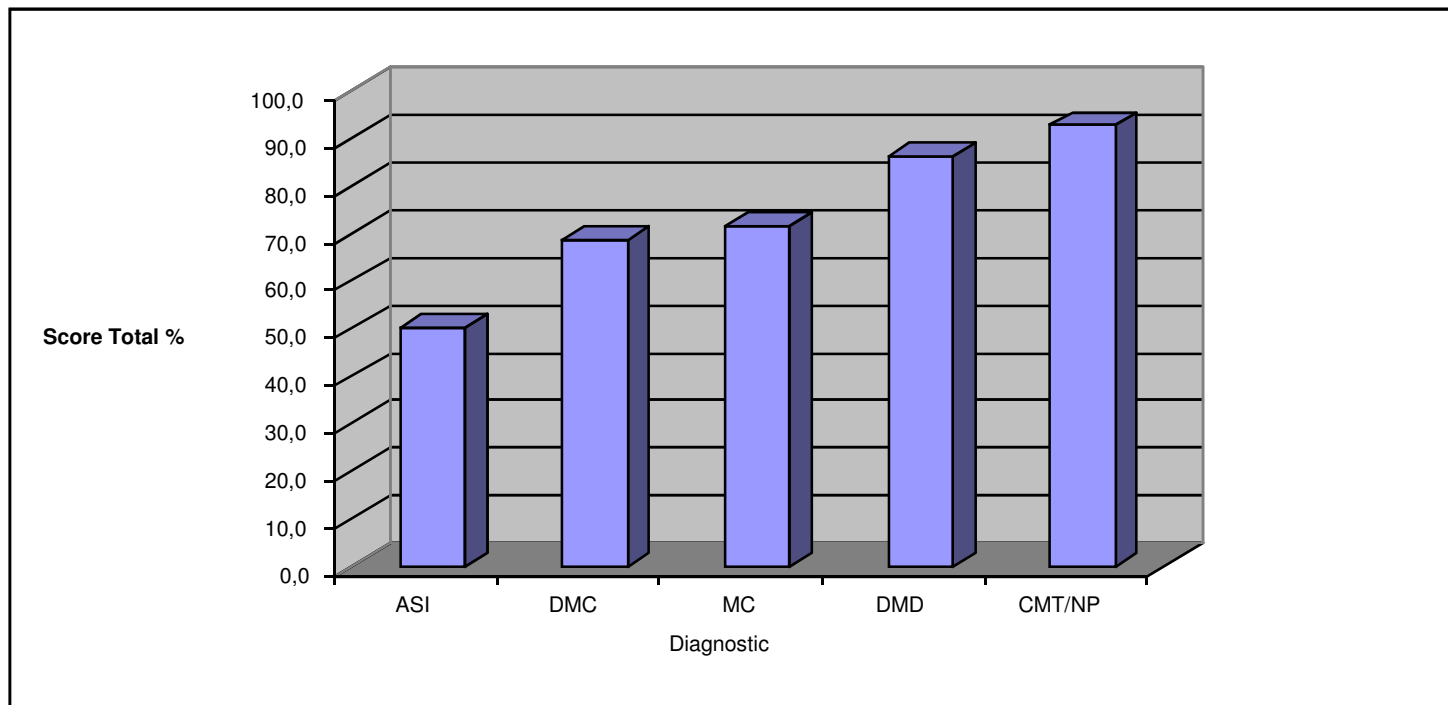
Le score global et les 3 dimensions sont fortement lié au degré de sévérité de l'atteinte motrice évalué par le médecin ($p < 0,0001$)

De même le score global ou les dimensions permettent une bonne discrimination selon les 5 groupes diagnostics principaux ($p < 0,01$)

SCORE TOTAL SELON SEVERITE DE L'ATTEINTE MOTRICE (CGI médecin)



SCORE TOTAL SELON DIAGNOSTIC



Conclusion

L'étude de validation permet d'affirmer les bonnes propriétés psychométriques de la MFM-20

Elle est rapide et bien acceptée par les enfants les plus jeunes

Intérêt dans les prochains essais thérapeutiques

Sensibilité au changement à confirmer

Possibilité d'un relais MFM-20 MFM-32 via le score global