



21706 - DISEÑO Y VALIDACIÓN PRELIMINAR DE UNA MEDIDA DE RESULTADO CLÍNICO PARA PACIENTES ADOLESCENTES Y ADULTOS CON AME. ESTUDIO SMA-LIFE ML43472

Vázquez Costa, J.¹; Sotoca Fernández, J.²; Sotoca Fernández, M.³; Rojas Marcos, I.⁴; Rebollo, P.⁵; Rafels Ybern, A.⁵; Cattinari, M.⁶; Martínez Moreno, M.⁷; García López, S.⁸; Terrancle, Á.⁸; Cabello Moruno, R.⁸; Povedano Panades, M.⁹

¹Servicio de Neurología. Hospital Universitari i Politècnic La Fe; ²Servicio de Neurología. Hospital Universitari Vall d'Hebron; ³Servicio de Neuropediatría. Hospital Universitario La Paz; ⁴Servicio de Neurología. Complejo Hospitalario Regional Virgen del Rocío; ⁵IQVIA; ⁶FUNDAME; ⁷Servicio de Rehabilitación Médica. Complejo Universitario La Paz; ⁸Departamento médico. Roche Farma España; ⁹Servicio de Neurología. Hospital Universitari de Bellvitge.

Resumen

Objetivos: Este estudio tiene como objetivo desarrollar y validar una nueva herramienta clínica multidimensional para evaluar el estado funcional de pacientes adolescentes y adultos con atrofia muscular espinal (AME).

Material y métodos: Este estudio prospectivo y no intervencional se lleva a cabo en cinco centros en España e incluye a pacientes de 16 años o más con diagnóstico confirmado de AME 5q. Un panel de neurólogos, médicos rehabilitadores y representantes de pacientes diseñó la herramienta clínica, que incluía la evaluación de 53 ítems a través de un cuestionario y la medición de variables clínicas (IMC, CVF y fuerza de pinza). Los centros administran la herramienta al inicio, a los 12 meses y a los 24 meses, junto a otras escalas convencionales. Se realizó un análisis Rasch interino después de la visita inicial para evaluar sus propiedades psicométricas como ajuste del modelo, dependencia, fiabilidad y validez de constructo.

Resultados: Se han seleccionado 41 ítems finales a partir de los cuales se ha definido una puntuación global con diferentes ponderaciones para cada ítem y una puntuación global sin ponderaciones para cada dimensión de la herramienta (bulbar, respiratoria, axial, miembros superiores, miembros inferiores y fatigabilidad). El alfa de Cronbach, utilizado para evaluar la fiabilidad de la herramienta, fue de 0,939. Todas las puntuaciones y dimensiones mostraron una correlación fuerte con otras escalas.

Conclusión: El desarrollo y validación preliminar de esta herramienta ha demostrado excelente fiabilidad y validez de constructo.