

14343VFQ



Journées neuromusculaires

La mesure de fonction motrice, outil d'évaluation clinique des maladies neuromusculaires. Étude de validation

C. Bérard¹, C. Payan², J. Fermanian³, F. Girardot et le groupe d'étude MFM¹

¹ Service de rééducation pédiatrique l'Escale, Centre Hospitalier Lyon-Sud.

² Institut de Myologie, Hôpital Pitié-Salpêtrière, Paris.

³ Service de Biostatistiques, Hôpital Necker, Paris.

RÉSUMÉ

Introduction. La description clinique des maladies neuromusculaires renseigne mal sur l'évolution de la déficience motrice et les professionnels n'ont pas d'outil pour évaluer les mesures thérapeutiques. **Méthode.** Une nouvelle échelle, la mesure de fonction motrice, a été construite pour évaluer la posture et les mouvements actifs de la tête, du tronc, des membres supérieurs et inférieurs dans la plupart des maladies neuromusculaires quel que soit leur degré de sévérité. Après l'étude d'une version préliminaire et d'une première version, la validation de la deuxième version définitive a concerné 72 enfants et adultes porteurs de dystrophie musculaire de Duchenne, 32 de dystrophie musculaire de Becker, 30 de myopathie des ceintures, 39 de dystrophie facio-scapulo-humérale, 29 de maladie de Steinert, 21 de myopathie congénitale, 10 de dystrophie musculaire congénitale, 35 d'amyotrophie spinale infantile et 35 de neuropathie héréditaire. L'étude a été réalisée dans 19 centres en France et en Suisse, entre mai 2002 et mars 2003. L'échelle comporte 32 items répartis en 3 dimensions, la station debout et les transferts, la motricité axiale et proximale et la motricité distale. L'étude de sensibilité au changement a été réalisée entre octobre 2003 et juillet 2004. **Résultats.** Trois cents trois patients âgés de 6 à 62 ans ont participé à l'étude de validation et un sous-groupe de 152 à l'étude de sensibilité au changement. La coopération des patients a été optimale dans 91 p. 100 des cas. Le temps moyen de passation était de 36 minutes (extrêmes 8-75). Les corrélations entre le score total et l'évaluation par le médecin et le kinésithérapeute de la sévérité de l'atteinte sont élevées (0,88 et 0,91). Les corrélations avec les grades fonctionnels de Brooke, Vignos et la mesure d'indépendance fonctionnelle sont élevées pour le score total et les 2 premières dimensions, plus basses avec la motricité distale. Les études inter et intra-observateurs ont confirmé la bonne reproductibilité de tous les items. Les premiers résultats montrent, après une seconde évaluation en moyenne 16 mois après la première, une bonne sensibilité au changement considérant l'appréciation du patient ou des médecins et kinésithérapeutes sur l'évolution de l'atteinte motrice. Par ailleurs, globalement, les scores diminuent significativement et les variations sont les plus importantes pour les patients porteurs de dystrophie de Duchenne. **Discussion.** La mesure de fonction motrice est une échelle objective, précise et validée pour évaluer la déficience motrice dans les principales maladies neuromusculaires de l'enfant et de l'adulte, quel que soit le stade de gravité de la maladie. Elle est complémentaire du testing musculaire, des échelles d'autonomie de la vie quotidienne et des échelles de qualité de vie. Cette échelle bien acceptée par les patients et les thérapeutes devrait permettre d'évaluer l'efficacité des mesures thérapeutiques.

Mots-clés : Maladie neuromusculaire • Métrologie • Échelle • Validation

SUMMARY

A motor function measure scale for neuromuscular diseases. Construction and validation study.

C. Bérard, C. Payan, J. Fermanian, F. Girardot et le groupe d'étude MFM, Rev Neurol (Paris) 2006; 162: XX, 1-9

A new scale for motor function measurement has been developed for neuromuscular diseases. After the study of a preliminary and a first version, the validation study included 303 patients, aged 6 to 62 years. Seventy-two patients had Duchenne muscular dystrophy, 32 Becker muscular dystrophy, 30 limb-girdle muscular dystrophy, 39 facio-scapulo-humeral dystrophy, 29 myotonic dystrophy, 21 congenital myopathy, 10 congenital muscular dystrophy, 35 spinal muscular atrophy and 35 hereditary neuropathy. The sensitivity for change was evaluated with 152 patients one year after. The scale comprised 32 items, in three dimensions: standing position and transfers, axial and proximal motor function, distal motor function. High correlations (>0.80) were found between the total score and other scores: Vignos and Brooke grades, Functional Independence Measure, the global severity of disability evaluated with visual analog scales by physicians and physiotherapists. This scale is reliable, does not require any special equipment and is well accepted by patients. It takes an average of 36 min (range 8-75) to complete the scale. Preliminary results of the second evaluation showed good sensitivity to change since last visit, considering rating by patient, investigator or physiotherapist. Also, significant differences in scores are obtained with the greatest deterioration observed in Duchenne patients.

Keywords: Neuromuscular disease • Motor function • Metrology • Scale • Validation • Clinical trials

Tirés à part : C. BÉRARD, Service de rééducation pédiatrique l'Escale, Centre Hospitalier Lyon-Sud, 165, chemin Grand Revoyet, 69495 Pierre Bénite Cedex.

INTRODUCTION

Les maladies neuromusculaires regroupent des entités cliniquement différentes, mais qui ont en commun une faiblesse musculaire retentissant sur le maintien des postures et la réalisation des mouvements volontaires. Certaines entités ont une séméiologie décrite de façon détaillée surtout lors du stade initial de la maladie comme la dystrophie musculaire de Duchenne, la myopathie facio-scapulo-humérale, l'amyotrophie spinale infantile et la maladie de Steinert. L'évolution de la déficience motrice de ces maladies, comme celle d'autres entités plus rares ou identifiées plus récemment comme les sarcoglycanopathies ou les myopathies congénitales n'est pas toujours décrite avec précision. À l'intérieur d'un même groupe pathologique, il existe des formes de gravité différente. L'évolution de chaque patient à l'intérieur de chaque groupe pathologique doit pouvoir être décrite avec précision quel que soit le stade évolutif de la maladie de façon à établir des groupes de patients homogènes, des corrélations précises entre phénotypes et génotypes et à apprécier le retentissement des thérapeutiques. Enfin, dans les formes progressives, certaines étapes de la maladie doivent pouvoir être anticipées pour prévoir les aménagements de l'environnement, et sauvegarder ainsi la plus grande autonomie possible des sujets. L'ensemble de ces objectifs implique de disposer d'un outil de description clinique validé, précis, évaluant les postures et mouvements des différents segments du corps et s'appliquant à tous les patients quel que soit le stade évolutif de leur maladie.

Après une étude exhaustive de la littérature confirmant l'absence d'un tel outil (Guinvarc'h, 2001) évaluant le retentissement d'une maladie neuromusculaire sur les capacités motrices du patient, nous avons décidé de construire et de valider une échelle mesurant la fonction motrice des membres supérieurs, des membres inférieurs et du tronc, la mesure de fonction motrice (MFM). Les principales étapes de la construction de l'échelle et quelques résultats de l'étude de validation sont décrits dans cet article. Le détail des résultats de l'étude de validation a été publié antérieurement (Bérard, 2005).

MATÉRIEL ET MÉTHODES

L'étude a été approuvée par le comité médical d'éthique de Lyon A et celui de Lausanne (Suisse). Un consentement écrit était donné par les patients adultes, les enfants et leurs parents.

Les différentes étapes de construction de l'échelle

LA VERSION PRÉLIMINAIRE

Des kinésithérapeutes, ergothérapeutes, médecins de médecine physique et réadaptation habitués à traiter des patients

atteints de maladies neuromusculaires, ont construit en 1998 une échelle comportant 75 items sélectionnés à partir de (i) différentes échelles de fonction motrice publiées et principalement la Gross Motor Function Measure (Russell *et al.*, 1989), (ii) l'expérience des investigateurs et (iii) une étude pilote impliquant des adultes et des enfants malades. Les items de cette version préliminaire ont été écrits en français et en anglais et envoyés avec une vidéo de démonstration à 115 équipes en Europe et Amérique du Nord. Quarante-sept équipes provenant de 10 pays différents ont participé à cette première expertise en sélectionnant les maladies concernées par une telle évaluation, les âges des patients, la sélection et la cotation des différents items. À partir des critiques et des propositions, le groupe d'étude MFM a écrit une première version comportant 51 items. Chaque item était coté selon une échelle à 5 points (0/aucun mouvement — 4/mouvement normal).

LA PREMIÈRE ÉTUDE DE VALIDATION

La version française de 51 items a été testée entre mai 2000 et mars 2001 par 16 équipes en France et une équipe en Suisse. Les équipes participantes comprenaient des services hospitaliers, des consultations de rééducation, des centres d'éducation motrice et une maison d'accueil pour adultes handicapés. Trois cent soixante-seize patients ayant un diagnostic supposé ou confirmé de maladie neuromusculaire âgés de 6 à 60 ans ont été testés par 18 kinésithérapeutes préalablement entraînés (Bérard *et al.*, 2001). Les analyses de reproductibilité des items, une analyse factorielle de l'échelle, une étude de la validité de convergence des scores total et sous-scores ont été réalisées. Les items concernant l'évaluation de la face ayant une faible reproductibilité, ainsi que d'autres items très corrélés entre eux ou mal tolérés par certains sujets, voire difficilement réalisables ont été exclus pour l'écriture d'une deuxième version réduite. Trois dimensions cliniquement distinctes ont été identifiées par analyse factorielle et ont été à la base de la construction de la deuxième version : la position debout et les transferts, la motricité axiale et proximale et la motricité distale.

LA VERSION DÉFINITIVE

La deuxième version définitive, testée entre mai 2002 et mars 2003 comporte 32 items testés en position couchée, assise et debout. Les items sont listés dans le *tableau 1*. La cotation utilise une échelle de Likert en 4 points évaluant les capacités maximales du sujet sans l'aide d'une tierce personne. La cotation « générique » pour de nombreux items est : 0 = n'initie pas le mouvement ou la position de départ ne peut être maintenue ; 1 = réalise partiellement l'exercice ; 2 = réalise complètement l'exercice, mais avec difficulté, compensations ou lenteur ; 3 = réalise complètement et « normalement » l'exercice. Le score total varie de 0 à 96 en additionnant toutes les cotations attribuées aux 32 items. Pour faciliter l'exploitation des résultats (comparaison avec les autres sous-scores), les scores sont évalués en pourcentage des scores maximaux possible. Pour facili-



Fig. 1. – Illustration de l'item n° 11, cotation 2 : assis sur le tapis, se met debout. Consignes du manuel de l'utilisateur : *Installer le sujet assis sur le tapis les membres inférieurs devant lui. Un sujet qui ne peut se passer de corset pour tenir assis a une cotation 0. *Demander au sujet de se mettre debout si possible sans appui ; le sujet est autorisé à avoir un appui une fois debout. *Cotations : 0 : ne peut pas se mettre debout ; 1 : se met debout avec appui des membres supérieurs sur un matériel ; 2 : se met debout avec appui des membres supérieurs sur le tapis et/ou sur lui-même ; 3 : se met debout sans appui des membres supérieurs.

*Example of the item n° 11, scoring 2: Seated on the mat, stands up. Instructions of the user's manual: *Place the subject on the mat in a seated position with the lower limbs stretched out in front of him. A subject who cannot sit without a corset obtains a score of 0. *Ask the subject: to stand up without upper limb support if possible. Once in standing position, the subject is allowed to use a support. *Scoring: 0: cannot stand up; 1: stands up with upper limb support on a piece of equipment; 2: stands up with upper limb support on the mat and/or on himself; 3: stands up without upper limb support.*

ter l'observation des performances, seuls 2 composants ont été retenus pour la cotation de chaque item ; par exemple, pour la cotation d'un item l'examineur doit apprécier l'amplitude et l'endurance et pour un autre item la position des segments de membres et le passage d'une position à une autre (Fig. 1). La cotation ne prend pas en compte la cause de la réalisation imparfaite, qu'il s'agisse d'une cause musculaire (faiblesse), tendineuse (rétraction) ou d'une douleur.

L'ÉTUDE DE SENSIBILITÉ AU CHANGEMENT DE LA VERSION DÉFINITIVE

Cette phase s'est déroulée entre octobre 2003 et juillet 2004. À l'issue de la première évaluation, il était demandé au patient s'il acceptait de revenir pour une seconde évaluation prévue au moins un an après la première. En parallèle, il était demandé aux kinésithérapeutes et médecins investigateurs de juger l'évolution des difficultés motrices depuis la visite précédente de façon globale et par dimension et aux patients d'évaluer le changement de la station debout, la marche, la station assise, la tenue de tête, les mouvements des bras, la prise des objets et la force des mains.

Modalités de passation de l'échelle

Celle-ci nécessite du matériel habituellement disponible dans une salle de kinésithérapie, auquel s'ajoute un petit équipement comme une balle de tennis, un CD collé sur un carton, un crayon et 10 pièces de monnaie, le détail étant décrit précisément dans le manuel de l'utilisateur. Ce manuel expose en détail la cotation de chaque item et est donc indispensable à la passation de l'échelle. Compte tenu de l'importance de l'environnement dans la réalisation de

certaines items, le matériel utilisé comme la hauteur de la chaise de laquelle le sujet doit s'élever ou de la table où il doit poser ses mains est décrite avec précision dans le manuel (Fig. 1). Le thérapeute note le niveau de coopération du sujet lors de la passation de l'échelle (nul, moyen ou optimal). Le manuel de l'utilisateur, dans sa version française ou anglaise, peut être téléchargé à partir du site www.afm-france.org. Les cotations sont reportées sur une feuille de cotation qui facilite le calcul des scores dans chacune des dimensions et que l'on peut se procurer auprès de Handicap International 69631 Lyon cedex 07.

Les centres investigateurs

Les 19 centres qui ont participé à l'étude de validation de la version définitive étaient ceux impliqués dans la validation de la première version auxquels s'étaient rajoutés 2 centres français. Avant de débiter l'étude, 22 kinésithérapeutes ont bénéficié d'une journée de formation pour s'entraîner à la cotation à partir de vidéo de patients ayant des atteintes de sévérité variée. Tous les kinésithérapeutes ont réussi le test de validation passé à la fin de la journée de formation. Chaque kinésithérapeute devait s'engager à tester 2 patients à titre d'exercice d'entraînement avant d'inclure un sujet dans l'étude. Dix-sept centres ont participé à l'étude de sensibilité au changement.

La population participant à la validation de la 2^e version

Les patients de l'étude étaient recrutés successivement dans les différents centres investigateurs à condition qu'ils soient âgés de 6 à 60 ans et porteurs d'une des maladies

Tableau I. – Liste des 32 items de la mesure de fonction motrice avec la position de départ, l'exercice demandé et le classement dans une des 3 dimensions (D1 : station debout et transferts, D2 : motricité axiale et proximale, D3 : motricité distale).
List of the 32 items of the Motor Function Measure with the starting position, the exercise required and the dimension concerned (D1 standing position and transfers, D2 axial and proximal motor function, D3 distal motor function).

| N° | Position de départ | cotation maximale de l'item |
|----|--|--|
| 1 | Couché sur le dos | Tête dans l'axe : maintient la tête dans l'axe puis la tourne complètement d'un côté puis de l'autre (D2) ; |
| 2 | | soulève la tête et la maintient soulevée (D2) ; |
| 3 | | fléchit la hanche et le genou de plus de 90° en décollant le pied du tapis (D2). |
| 4 | | Jambe soutenue par l'examineur : de la position pied relâché en flexion plantaire, réalise une flexion dorsale du pied à 90° par rapport à la jambe (D3) ; |
| 5 | | soulève une main du tapis et la porte jusqu'à l'épaule opposée (D2). |
| 6 | | Membres inférieurs demi-fléchis, rotules au zénith, et pieds reposant sur le tapis : soulève le bassin, colonne lombaire, bassin et cuisses alignés et pieds légèrement écartés (D1) ; |
| 7 | | se retourne sur le ventre et dégage les membres supérieurs de dessous le corps (D2) ; |
| 8 | | sans appui des membres supérieurs s'assied sur le tapis (D1) ; |
| 9 | Assis sur le tapis | sans appui des membres supérieurs maintient la station assise puis est capable de maintenir un contact entre les 2 mains (D2). |
| 10 | | La balle de tennis placée devant le sujet : sans appui des membres supérieurs se penche en avant, touche la balle puis se redresse (D2) ; |
| 11 | | se met debout sans appui des membres supérieurs (D1) ; |
| 12 | Debout | sans appui des membres supérieurs, s'assied sur la chaise en gardant les pieds légèrement écartés (D1) ; |
| 13 | Assis sur la chaise | sans appui des membres supérieurs et sans appui contre le dossier de la chaise maintient la position assise, tête et tronc dans l'axe (D2). |
| 14 | Assis sur la chaise ou dans son fauteuil | Tête positionnée en flexion : de la position tête fléchie complètement, relève la tête puis la maintient relevée, le mouvement et le maintien se faisant tête dans l'axe (D2). |
| 15 | | |
| 16 | | Avant-bras posés sur la table, coudes en dehors de la table : porte en même temps les 2 mains sur le sommet du crâne, la tête et le tronc restant dans l'axe (D2). |
| 17 | | Le crayon posé sur la table : atteint le crayon avec une main, coude en extension complète en fin de mouvement (D2). |
| 18 | | 10 pièces de monnaie placées sur la table : prend successivement et stocke 10 pièces de 10 centimes dans une main au bout de 20 secondes (D3). |
| 19 | | Un doigt posé au centre d'un CD fixe : fait le tour complet du CD avec un doigt, sans appui de la main (D3). |
| 20 | | Le crayon placé sur la table : prend le crayon placé à côté de sa main puis dessine une série continue de boucles de 1 cm de hauteur dans un cadre de 4 cm de longueur (D3). |
| 21 | | La feuille de papier placée dans les mains : déchire la feuille pliée en 4 en commençant par le pli (D3). |
| 22 | | La balle de tennis placée sur la table : prend la balle puis retourne sa main complètement en tenant la balle (D3). |
| 23 | | Un doigt posé au centre d'un carré fixe : soulève le doigt puis le pose successivement au centre des 8 cases du carré sans toucher le quadrillage (D3). |
| 24 | Assis sur la chaise | Membres supérieurs le long du corps : pose en même temps les 2 avant-bras et/ou les mains sur la table (D2) ; |
| 25 | Debout avec appui des membres supérieurs | se met debout, sans appui des membres supérieurs, les pieds légèrement écartés (D1). |
| 26 | Sur un matériel | Se lâche puis maintient la station debout pieds légèrement écartés, tête, tronc et membres dans l'axe (D1) ; |
| 27 | Debout | sans appui des membres supérieurs lève un pied, 10 secondes (D1) ; |
| 28 | Debout sans appui | sans appui, se baisse ou se penche, touche le sol avec une main puis se relève (D1) ; |
| 29 | | fait 10 pas en avant sur les 2 talons (D1) ; |
| 30 | | fait 10 pas en avant sur une ligne droite (D1) ; |
| 31 | | court sur 10 mètres (D1). |
| 32 | | Sur un pied saute sur place 10 fois de suite (D1) ; sans appui des membres supérieurs atteint la position accroupie puis se relève, 2 fois de suite (D1). |

suyvantes dont le diagnostic était confirmé par étude génétique ou biopsie musculaire. Les maladies ont été classées en 8 groupes pathologiques : 1) dystrophie musculaire de Duchenne, 2) dystrophie musculaire de Becker, 3) myopathie facio-scapulo-humérale, 4) dystrophie des ceintures, 5) dystrophie myotonique, 6) amyotrophie spinale infantile, 7) myopathie congénitale et dystrophie musculaire congénitale et 8) neuropathie héréditaire. Les patients ayant eu une chirurgie récente ou ayant des problèmes de compréhension étaient exclus. Chaque groupe pathologique devait comporter un minimum de 30 sujets. Un même groupe rassemblait les myopathies congénitales et les dystrophies musculaires congénitales compte tenu de la relative rareté de ces pathologies dans les consultations.

Critères d'évaluations et méthodes statistiques

Deux études test-retests, inter-observateurs (5 centres) et intra-observateurs (11 centres), ont été menées avec 2 sous-groupes de 50 patients, pour vérifier la bonne reproductibilité de chaque item (coefficient kappa de Cohen). Le délai entre les deux évaluations ne devait pas excéder 30 jours, en vérifiant qu'aucun événement n'avait modifié la condition du patient. La validité de construit a été vérifiée par analyse factorielle (Analyse en composantes principales avec rotation varimax), dans le but de contrôler si les 3 dimensions identifiées dans la première version étaient retrouvées. Les critères étudiés par corrélations (coefficient de Spearman ou Pearson) des scores obtenus pour la validité de convergence sont les suivants : grades fonctionnels de Brooke (membres supérieurs) et Vignos (membres inférieurs), la mesure d'indépendance fonctionnelle (MIF), 4 échelles visuelles analogiques (EVA de 10 cm) de sévérité de fonction motrice globale et dimensionnelle évaluée par les médecins et les kinésithérapeutes ainsi qu'une échelle visuelle analogique (EVA) de handicap évaluée par le patient et ses parents (lorsque le sujet est un enfant) (Brooke *et al.*, 1981 ; Vignos *et al.*, 1963). La cohérence interne (coefficient alpha de Cronbach) de l'échelle MFM est appréciée globalement (score total) et par dimension. La validité discriminante est évaluée par comparaison des scores totaux de l'échelle selon la sévérité globale de l'atteinte motrice évaluée par le médecin sur une cotation à 4-points (Impression Clinique Globale ICG : 1- légère, 2- modérée, 3- sévère ou 4- très sévère), et également selon la classification diagnostique (Analyse de variance et test de t pour les comparaisons entre 2 groupes). L'étude de sensibilité au changement a consisté en l'évaluation par diagnostic de la variation du score total et des 3 scores dimensionnels (moyenne de la différence des scores et écart-type), et comparaisons des moyennes des différences des scores MFM selon les appréciations données par les patients et leurs parents éventuellement, les médecins et les kinésithérapeutes sur l'évolution de l'atteinte motrice depuis la précédente passation (tests non paramétriques de Kruskal-Wallis et Mann-Whitney). Un auto-questionnaire portant

sur les activités quotidiennes (HAQ pour les adultes, CHAQ pour les enfants et leurs parents) était également rempli pendant cette visite, afin d'évaluer la corrélation de la MFM (pour la validité de convergence) avec une évaluation réalisée par le patient du retentissement de ses difficultés motrices, ce qui n'avait pu être évalué lors de l'étude de validation (Fries *et al.*, 1982 ; Guillemin *et al.*, 1991 ; Pouchot *et al.*, 2001).

RÉSULTATS

La population

Trois cent trois patients ont été évalués. La moyenne d'âge était de 24,5 ans +15,4 (6-62 ans). 59 p. 100 étaient des enfants de moins de 18 ans. Le sexe masculin était prédominant (69/31) compte tenu de l'importance numérique du groupe Duchenne/Becker. Quarante-cinq pour cent n'avaient pas la capacité de marcher et 57 p. 100 utilisaient un fauteuil roulant. Dix-sept pour cent avaient une assistance respiratoire intermittente ou permanente et 6 p. 100 une trachéotomie. La classification de l'atteinte motrice en 4 grades de sévérité par les médecins investigateurs correspondait à 17 p. 100 d'atteinte légère, 29 p. 100 d'atteinte modérée, 38 p. 100 d'atteinte sévère et 16 p. 100 d'atteinte très sévère.

La passation de l'échelle et la validité d'apparence

Le temps moyen de passation a été de 36 minutes avec des extrêmes de 8 et 75 minutes. Dans 75 p. 100 des cas le temps de passation était compris entre 15 et 45 minutes. La durée de la passation dépendait du nombre d'items pouvant être proposés, de la rapidité de compréhension des consignes et des difficultés éventuelles à installer les patients dans la position de départ. Un sujet ne pouvant tenir debout même avec aide ne passe que 21 items. Aucune relation n'a été mise en évidence entre la sévérité de la déficience motrice et le temps nécessaire à la passation de l'échelle. La coopération des patients a été jugée optimale dans 91 p. 100 des cas et moyenne dans 9 p. 100 des cas. Les kinésithérapeutes ont noté une fatigabilité apparue au cours de la passation dans 18 p. 100 des cas sans qu'il y ait de relation entre cette fatigabilité et la durée de passation de l'échelle. Dans 15 p. 100 des cas la passation de l'échelle a permis au patient de découvrir des possibilités fonctionnelles méconnues.

Validité de construit

L'analyse factorielle a confirmé les 3 dimensions identifiées dans la première version, représentant au total 75 p. 100 de la variance. Le premier facteur D1 (32 p. 100) correspondant aux items de la « Position debout et les

Tableau II. – Corrélations (coefficients de Spearman) entre le degré d'incapacité évalué à l'aide d'une échelle visuelle analogique (EVA) par le médecin et le kinésithérapeute, les grades de Vignos et Brooke, la mesure d'indépendance fonctionnelle (MIF) et les scores (total et dans les 3 dimensions D1 station debout et transferts, D2 motricité axiale et proximale, D3 motricité distale) de la mesure de fonction motrice (MFM).

Spearman rank correlations between the degree of disability evaluated with a Visual Analogic Scale (EVA) by physicians and physiotherapists, Vignos and Brooke grade, The Functional Independence Measure (MIF) and total and dimensional scores of the Motor Function Measure (MFM) (D1 standing position and transfers, D2 axial and proximal motor function, D3 distal motor function).

| | EVA du Médecin | EVA du Kinésithérapeute | Grade de Vignos | Grade de Brooke | MIF |
|-----------------|----------------|-------------------------|-----------------|-----------------|------|
| MFM Score Total | 0,88 | 0,91 | 0,91 | 0,85 | 0,91 |
| Score D1 | 0,90 | 0,94 | 0,93 | 0,73 | 0,87 |
| Score D2 | 0,80 | 0,87 | 0,79 | 0,87 | 0,84 |
| Score D3 | 0,64 | 0,70 | 0,56 | 0,65 | 0,64 |

transferts », contient 13 items, le second facteur D2 (26 p. 100), représente la « Motricité axiale et proximale » et contient 12 items, et le troisième D3 (17 p. 100) contient les 7 items de la « Motricité distale ».

La cohérence interne du score total et de chaque facteur est élevée, les coefficients de Cronbach étant compris entre 0,89 et 0,98 pour les dimensions et à 0,99 pour l'échelle totale.

Reproductibilité

Les études inter- et intra-observateurs ont confirmé la bonne reproductibilité de tous les items. Dans l'étude inter-observateur, il n'a été obtenu aucun item avec un coefficient Kappa inférieur à 0,5. Seuls 3 items ont des coefficients considérés comme modérés (0,51-0,60). Dans l'étude intra-observateur, la majorité des items (25 sur 32) ont des coefficients considérés comme excellents (> 0,80), les autres étant considérés comme bons (> 0,60).

Validité de convergence

Le score total de l'échelle MFM est fortement corrélé (Tableau II) avec la sévérité de fonction motrice globale évalués par les médecins et les kinésithérapeutes sur les EVA (0,88 et 0,91 respectivement). Les sous-scores correspondant aux 2 premières dimensions sont également bien corrélés aux EVA correspondantes complétées par les médecins et les kinésithérapeutes (0,80 à 0,94). Les corrélations entre le sous-score de la 3^e dimension et les EVA

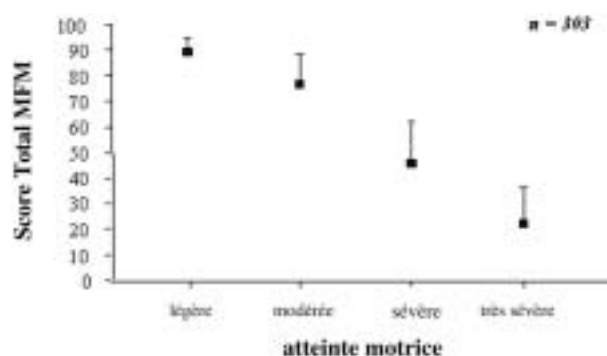


Fig. 2. – Moyenne (\pm DS) du score total de la mesure de fonction motrice (MFM) en fonction des 4 stades de sévérité de l'atteinte motrice évaluée par le médecin (Impression Clinique Globale).

Mean total scores (\pm SD) of the Motor Function Measure (MFM) according to four grades of global severity of motor disability as evaluated by physicians (Clinical Global Impression).

correspondantes sont plus faibles (0,64 et 0,70 respectivement).

Les autres corrélations avec les grades fonctionnels de Brooke et Vignos et la MIF donne des résultats similaires, avec de fortes corrélations pour le score total et les sous-scores des 2 premières dimensions ; les corrélations avec le 3^e sous-score étant plus modérées.

La corrélation obtenue entre le score total d'échelle MFM et celui de l'auto-questionnaire portant sur les activités quotidiennes (HAQ et CHAQ) est excellente ($\rho = 0,90$; $N = 145$). Les corrélations de ce questionnaire sont également bonnes avec les 3 sous-scores dimensionnels (respectivement 0,86 ; 0,83 et 0,77).

Validité discriminante

Il existe une forte relation entre la sévérité globale de l'atteinte motrice évaluée par le médecin sur une cotation à 4 points (ICG) et la MFM ; le score total de l'échelle MFM diminue significativement ($p < 0,0001$) avec la sévérité de l'atteinte motrice (Fig. 2).

Dans la figure 3 sont représentés le score total et chacun des 3 sous-scores dimensionnels pour les 8 groupes diagnostiques. Comme attendu, il existe des différences significatives entre les groupes, notamment pour le score total ($p < 0,0001$). Le groupe des patients Duchenne est le plus atteint, avec les scores les plus bas, proche du groupe des sujets amyotrophie spinale infantile. Les patients les moins atteints sont les sujets des groupes neuropathie héréditaire, dystrophie myotonique et dystrophie facio-scapulo-humérale, les groupes intermédiaires étant les groupes Becker, myopathie et dystrophie musculaire congénitales, et dystrophie des ceintures. Il est à noter que les patients les plus atteints appartenant aux groupes malade de Duchenne et amyotrophie spinale infantile conservent un score élevé de motricité distale.

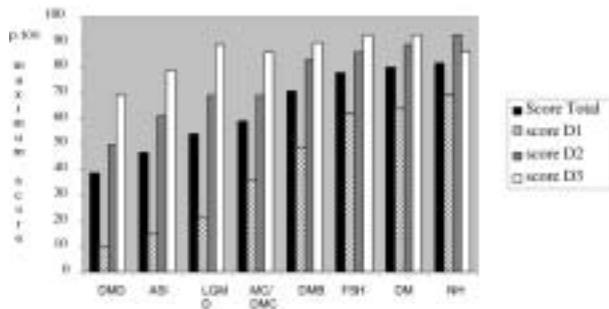


Fig. 3. – Score total et dans chaque dimension (D1 station debout et transferts, D2 motricité axiale et proximale, D3 motricité distale) exprimé en pourcentage du score maximal possible dans les différents groupes diagnostiques. DMD : dystrophie musculaire de Duchenne ; ASI : amyotrophie spinale infantile ; LGMD : dystrophies des ceintures ; MC/DMC : myopathie congénitale et dystrophie musculaire congénitale ; DMB : dystrophie musculaire de Becker ; FSH : dystrophie facio-scapulo-humérale ; DM : dystrophie myotonique ; NH : neuropathie héréditaire.

Total and dimensional scores (D1: standing and transfers, D2: axial and proximal limb motor function, D3: distal limb motor function) expressed as percent of maximal possible score according to diagnosis: DMD: Duchenne muscular dystrophy; ASI: spinal muscular atrophy; LGMD: limb girdle muscular dystrophy; MC: congenital myopathy and DMC: congenital muscular dystrophy; DMB: Becker muscular dystrophy; FSH: facio-scapulo-humeral dystrophy; DM: myotonic dystrophy and NH: hereditary neuropathy.

Sensibilité au changement

Cent cinquante-deux patients ont été évalués en moyenne 16 mois (9 à 24 mois) après la première visite. La description des patients est peu différente de la population initiale : 53 p. 100 étaient des enfants de moins de 18 ans, le sexe masculin était toujours prédominant (72/28) et 45 p. 100 n'avaient pas la capacité de marcher, 21 p. 100 avaient une assistance respiratoire intermittente ou permanente et 7 p. 100 une trachéotomie. La classification de l'atteinte motrice en 4 grades de sévérité par les médecins investigateurs montrait un peu plus de patients dans le groupe « sévère » : 10 p. 100 d'atteinte légère, 28 p. 100 d'atteinte modérée, 44 p. 100 d'atteinte sévère et 18 p. 100 d'atteinte très sévère.

Concernant les variations des scores entre les 2 évaluations, le score total de l'échelle MFM a diminué dans le groupe global de façon significative : $-2,28 \pm 5,28$ ($p < 0,0001$). C'est dans le groupe des 41 patients Duchenne que la variation a été la plus importante : $-5,5 \pm 6,1$ ($p < 0,0001$). Dans les autres groupes de patients, les effectifs sont plus faibles et les résultats sont soit à la limite de la significativité, soit trop variables pour conclure. Pour les sous-scores, c'est également dans le groupe Duchenne que des variations significatives sont observées : score D1 : $-1,9 \pm 4,2$; score D2 : $-2,7 \pm 4,0$; score D3 : $-0,9 \pm 2,9$.

Si l'on considère l'appréciation du patient sur son évolution, 34 p. 100 se considéraient comme aggravés depuis la précédente visite, 47 p. 100 stables, 10 p. 100 améliorés et

9 p. 100 ne pouvaient se prononcer. La comparaison des différences du score total de l'échelle MFM entre les 3 premiers groupes fait apparaître une différence significative (respectivement $-4,2$; $-1,9$ et $+0,9$) le groupe des aggravés ($-4,2$) étant significativement différent des 2 autres.

Les appréciations données par les médecins et les kinésithérapeutes ont été regroupées en 2 catégories, d'une part en « stable » et « amélioré », un seul patient ayant été considéré comme amélioré par chaque catégorie de professionnels, et d'autre part en « très aggravé » et « un peu aggravé ». Les patients ont été considérés comme « stables » dans 51 p. 100 des cas par les 2 catégories de professionnels. La différence du score total de l'échelle MFM est plus élevée dans le groupe des « aggravés », aussi bien selon le médecin ($-5,1$ versus $-1,2$, $p < 0,001$) que selon le kinésithérapeute ($-5,8$ versus $-1,0$, $p < 0,0001$).

DISCUSSION

La plupart des descriptions cliniques des maladies neuromusculaires sont peu précises et l'information souvent seule disponible est la capacité de marcher ou non, et dans les formes progressives, l'âge de perte de marche. Or, une fois la capacité de marcher perdue, la fonction des membres supérieurs est tout aussi importante pour le maintien de l'indépendance du patient et doit donc pouvoir être évaluée. La MFM est un outil performant pour décrire au fil du temps l'évolution des capacités motrices d'un patient. La MFM doit pouvoir prédire les étapes cliniques essentielles comme la perte de la marche dans les dystrophies musculaires progressives. La MFM peut être utilisée dans la pratique clinique quotidienne et dans les protocoles d'étude thérapeutique pour quantifier le retentissement sur la fonction motrice d'un traitement chirurgical, orthopédique, physique ou médicamenteux.

L'étude de validation a établi les bonnes qualités métrologiques de la MFM pour de nombreuses pathologies neuromusculaires entre les âges de 6 et 60 ans (Bérard *et al.*, 2005). Cette fourchette d'âges avait été établie pour éviter les problèmes liés d'une part au développement psychomoteur du petit enfant, et d'autre part aux limitations physiques liées au vieillissement. La MFM peut être utilisée pour toutes les maladies neuromusculaires suivies dans une consultation parfois avant qu'un diagnostic précis ne soit établi, en sachant que des études de validation complémentaires devront être faites pour les pathologies non incluses dans l'étude présentée. La comparaison entre des pathologies voisines peut ainsi être établie.

La MFM est complémentaire d'autres outils d'évaluation explorant la déficience musculaire, l'autonomie dans la vie quotidienne ou la qualité de vie (Guinvarc'h *et al.*, 2003). Le testing musculaire manuel a une reproductibilité inter-observateur médiocre et est moins performant que les échelles de fonction motrice pour traduire l'évolution de certaines maladies. Pour Ianaconne *et al.* (1994), la force musculaire peut être stable alors que la fonction motrice se

dégrade. Dans une étude concernant des essais cliniques dans une population pédiatrique d'amyotrophie spinale infantile, l'échelle « Gross Motor Function Measure » était plus performante que le testing musculaire quantifié (Iannaccone *et al.*, 1994). Les échelles d'autonomie sont très liées à l'incapacité motrice, ce qui est confirmé dans notre étude, mais restent très dépendantes de l'environnement. Les échelles de qualité de vie évaluent un autre domaine. Notre protocole ne comportait pas d'évaluation de qualité de vie et Abresch a montré qu'il n'y a pas de lien entre incapacité motrice et qualité de vie (Abresch *et al.*, 1998).

Dans le groupe des tests évaluant la fonction ou l'incapacité motrice, la MFM présente plusieurs avantages (Guinvarc'h, 2001). Il s'agit d'un outil précis donnant un grand nombre d'informations fiables au prix d'une passation et d'une cotation rigoureuses ce que ne peuvent donner des grades grossiers comme les grades de Vignos, Brooke ou Walton utilisés dans les myopathies qui peuvent être suffisants pour classer les patients dans des groupes homogènes, mais restent peu informatifs pour un sujet donné et pour évaluer l'efficacité d'une thérapeutique (Brooke *et al.*, 1981 ; Vignos *et al.*, 1963 ; Walton et Rowland, 1994). Si une reproductibilité élevée est obtenue pour des échelles utilisées à l'intérieur d'un même service comme pour le score d'Hammersmith dans la dystrophie de Duchenne et l'amyotrophie spinale infantile (Main *et al.*, 2003), un manuel précis de cotation et une formation des utilisateurs sont nécessaires quand des équipes différentes doivent être impliquées, notamment dans des protocoles thérapeutiques multicentriques. Il est également intéressant de pouvoir suivre avec une même échelle les patients porteurs d'une même pathologie, qu'ils aient la possibilité de marcher ou non, ce qui n'est le cas ni du score d'Hammersmith, ni de l'EK-scale (Scott *et al.*, 1982 ; Steffensen *et al.*, 2002). Certaines échelles de fonction motrice sont spécifiques d'une maladie ou ne sont validées que pour une seule partie du corps (Brooke *et al.*, 1983 ; Vignos *et al.*, 1963 ; Zupan 1996). Enfin, les scores chronométrés de marche ou mesurant des temps de transfert ne concernent que les patients ayant les capacités de marcher, ne sont informatifs que sur une courte période d'évolution des dystrophies progressives et ne sont pas validés (Brooke *et al.*, 1981). D'autres tests ne sont pas spécifiques, mal adaptés ou non validés dans les maladies neuromusculaires, comme le Jebsen test (Jebsen *et al.*, 1969) ou le Gross Motor Function Measure qui a été validé pour l'infirmité motrice cérébrale (Russell *et al.*, 1989).

En conclusion, la MFM est un outil validé qui permet d'évaluer à l'aide d'un score total et d'un score dans 3 dimensions distinctes représentant respectivement la station debout et les transferts, la motricité axiale et proximale et la motricité distale, les principales maladies neuromusculaires quel que soit leur degré de sévérité. L'étude de sensibilité au changement a démontré les capacités de l'échelle à détecter des variations ressenties par le patient ou rapportées par les thérapeutes, résultats qui restent à confirmer dans le cadre d'essais thérapeutiques contrôlés.

Remerciements. Ce travail a été rendu possible grâce à l'aide de l'Association Française contre les myopathies et Handicap International. Il a été réalisé avec l'aide logistique du Département de Recherche Clinique et du Centre d'Investigation Clinique des Hospices Civils de Lyon. Nous avons beaucoup apprécié le travail de S. Guinvarc'h pour les premières étapes de la construction de l'échelle et la mise en place d'un réseau international. Le travail de validation des 2 versions de l'échelle a été réalisé par les membres du groupe d'étude de la MFM : Docteur M. Fournier-Méhous et V. Tanant, kinésithérapeute à l'Hôpital de l'Archet, Nice ; Docteur F. Beltramo, C. Marchal et C. Capello, kinésithérapeutes à l'Hôpital Brabois, Nancy ; Docteur D. Fort et M. Desingue, kinésithérapeute au Centre de Rééducation Enfants, Flavigny sur Moselle ; Docteur C. Bérard, Docteur I. Hodgkinson, F. Girardot et F. Locqueneux, kinésithérapeutes à l'Escale, Centre Hospitalier Lyon-Sud, Lyon ; Docteur J. Lachanat et D. Denis, kinésithérapeute à la Fondation Richard, Lyon ; Docteur J. Nielsen, C. Glardon et S. Igolen-Augros, kinésithérapeutes à l'Hôpital Orthopédique, de Lausanne, Suisse ; Docteur A. Fares, Docteur G. Le Claire et Docteur J.L. Le Guet, D. Lefevre-Brule, kinésithérapeute au Centre de Kerpape, Ploemeur ; Docteur J.Y. Mahé et C. Nogues, kinésithérapeute au Centre de Pen Bron, La Turballe ; Docteur L. Feasson, et A. Jouve, kinésithérapeute à l'Hôpital Bellevue, Saint-Étienne ; Docteur M. Schmuck du Service de Soins à Domicile, Roanne ; Docteur P. Kieny et G. Morel, kinésithérapeute à la Résidence la Forêt, Saint Georges sur Loire ; Docteur J.A. Urtizberea, Docteur C. Themar Noel, Docteur F. Cottrel, Docteur V. Doppler et J. Paulus, kinésithérapeute à l'Institut de Myologie, Hôpital Pitié-Salpêtrière, Paris ; Docteur F. Vandendorre et C. Pastorelli, kinésithérapeute à l'Hôpital Raymond Poincaré, Garches ; Docteur I. Desguerre à l'Hôpital Saint-Vincent-de-Paul, Paris ; Docteur E. Boulvert au Centre de rééducation Petit Tremblay, Corbeil-Essonnes ; Docteur B. Pialoux, Docteur P. Gallien et F. Letanoux, kinésithérapeute au Centre Hospitalier Régional Pontchaillou, Rennes ; Docteur P. Dudognon, Docteur J.Y. Salle, F. Parpeix et P. Morizio, kinésithérapeutes au Centre Hospitalier Universitaire Dupuytren, Limoges ; Docteur V. Bourg et B. Moulis-Wyndels, kinésithérapeute au Centre Paul Dottin, Ramonville Saint Agne ; Docteur M. Marpeau, Docteur F. Barthel, D. Traubaud, D. Rouif et M. Vercaemer, kinésithérapeutes au Centre Saint Jean de Dieu, Paris ; Docteur G. Viet et B. Degroote, kinésithérapeute à l'Hôpital Swinghedaw, Lille ; Docteur A. Carpentier et I. Bourdeauducq, kinésithérapeute au Centre Marc Sautet, Villeneuve d'Ascq.

RÉFÉRENCES

- ABRESCH RT, SEYDEN NK, WINEINGER MA. (1998). Quality of life. Issues for persons with neuromuscular diseases. *Phys Med Rehabil Clin N Am*, 9: 233-248.
- BÉRARD C, PAYAN C, HODGKINSON I *et al.* (2001). Motor function measure for neuromuscular diseases. Validation of the first version scale. *Neuromuscul Disord*, 11: 361.
- BÉRARD C, PAYAN C, HODGKINSON I, FERMANIAN J and the MFM collaborative study group (2005). A motor function measure scale for neuromuscular diseases. Construction and validation study. *Neuromuscul Disord*, 15: 463-470.
- BROOKE MH, GRIGGS RC, MENDELL JR, FENICHEL GM, SHUMATE JB. (1981). Clinical trial in Duchenne dystrophy. 1. The design of the protocol. *Muscle Nerve*, 4: 186-197.
- BROOKE MH, FENICHEL GM, GRIGGS RC *et al.* (1983). Clinical investigation in Duchenne dystrophy: 2. Determination of the "power"

- of therapeutic trials based on the natural history. *Muscle Nerve*, 6: 91-103.
- FRIES JF, SPITZ P, YOUNG D. (1982). The dimensions of health outcomes: the Health Assessment Questionnaire, Disability and Pain scales. *J. Rheumatol*, 9: 789-793.
- GUILLEMIN F, BRIANCON S, POUREL J. (1991). Mesure de la capacité fonctionnelle dans la Polyarthrite Rhumatoïde : Adaptation française du Health Assessment Questionnaire (HAQ). *Revue du Rhumatisme*, 58 : 459-465.
- GUINVARCH S. (2001). Évaluation neuropsychologique et psychologique, évaluation des capacités motrices, de l'indépendance fonctionnelle, évaluation de la qualité de vie. *Ann Réadaptation Med Phys*, 1 : 85-104.
- GUINVARCH S, BERARD C, CALMELS P. (2003). Affections neuromusculaires. In: Guide des outils de mesure et d'évaluation en médecine physique et de réadaptation. F. Bethoux, P. Calmels. Ed Frison-Roche, Paris, pp. 269-283.
- IANNACCONE ST, BROWNE RH, SAMAHA FJ, BUNCHER CR, DCN/SMA GROUP. (1994). Prospective study of spinal muscular atrophy before age 6 years. *Pediatr Neurol*, 9: 187-193.
- JEBSEN RH, TAYLOR N, TRIESCHMANN RB, TROTTER MJ, HOWARD LA. (1969). An objective and standardized test of hand function. *Arch Phys Med Rehabil*, 12: 17-19.
- MAIN M, KAIRON H, MERCURI E, MUNTONI F. (2003). The hammersmith functional motor scale for children with spinal muscular atrophy: a scale to test ability and motor progress in children with limited ambulation. *Europ J Paed Neurol*, 7: 155-159.
- POUCHOT J, RUPERTO N, LEMELLE I et al. (2001). Clin Exp. *Rheumatol*, 19: 60-65.
- RUSSELL D, ROSENBAUM P, CADMAN D, GOWLAND C, HARDY S, JARVIS S. (1989). The gross motor function measure: a means to evaluate the effects of physical therapy. *Dev Med Child Neurol*, 31: 341-352.
- SCOTT OM, HYDE SA, GODDARD C, DUBOWITZ V. (1982). Quantification of muscle function in children: a prospective study in Duchenne muscular dystrophy. *Muscle Nerve*, 5: 291-301.
- STEFFENSEN BF, LYAGER S, WERGE B, RAHBEK J, MATTSSON E. (2002). Physical capacity in non-ambulatory people with Duchenne muscular dystrophy and spinal muscular atrophy. A longitudinal study. *Dev Med Child Neurol*, 44: 623-632.
- VIGNOS PJ, SPENCER GE, ARCHIBALD KC. (1963). Management of progressive muscular dystrophy of childhood. *JAMA*, 184: 89-96.
- WALTON J, ROWLAND LP. (1994). Clinical examination, differential diagnosis and classification. In: Disorders of voluntary muscles, 6^e ed, Livingstone.
- ZUPAN A. (1996). Assessment of the functional abilities of the upper limbs in patients with neuromuscular diseases. *Disabil Rehabil*, 18: 69-75.