

Validación del Cuestionario pediátrico de calidad de vida™ (*Pediatric Quality of Life Inventory™*) Módulo neuromuscular, versión 3.0 en español para Argentina

Validation of the Pediatric Quality of Life Inventory™, Neuromuscular Module, version 3.0 in Spanish for Argentina

Lic. Julieta Mozzoni^{a,b}, Lic. Soledad Gómez^{a,b}, Dra. M. Soledad Monges^{b,c}, Dra. M. Fernanda de Castro Pérez^d, Lic. Marina Méndez^a, Lic. Paula Lemme^a, Lic. Regina Avanza^a, Lic. Marina Toobe^a y Lic. Leliz Paoletti^a

RESUMEN

Objetivo: Evaluar las propiedades psicométricas del Cuestionario pediátrico de calidad de vida (PedsQL™ 3.0) Módulo Neuromuscular, versión en español para Argentina, en niños entre 2 y 18 años con enfermedades neuromusculares.

Población y métodos: Estudio observacional, analítico, prospectivo, de validación, realizado en el Hospital Garrahan entre el 19 de marzo de 2019 y el 9 de marzo de 2020. A los 10-15 días se realizó el *retest* del cuestionario para validar en los pacientes que reportaron estabilidad.

Resultados: Participaron 185 niños y sus padres. Sobre la factibilidad de la herramienta, los participantes comprendieron fácilmente su contenido. La confiabilidad resultó aceptable, con una consistencia interna de 0,82 en niños y 0,87 en padres y un coeficiente de correlación intraclase en el *retest* de 0,70 en niños y 0,82 en familiares. Sobre la validez del constructo se confirmaron 8 de 11 hipótesis establecidas (72,7 %).

Conclusión: El cuestionario fue validado en sus propiedades psicométricas.

Palabras clave: calidad de vida, enfermedades neuromusculares, pediatría, estudio de validación.

<http://dx.doi.org/10.5546/aap.2021.e286>

Texto completo en inglés:

<http://dx.doi.org/10.5546/aap.2021.eng.e286>

Cómo citar: Mozzoni J, Gómez S, Monges MS, de Castro Pérez MF, et al. Validación del Cuestionario pediátrico de calidad de vida™ (*Pediatric Quality of Life Inventory™*) Módulo neuromuscular, versión 3.0 en español para Argentina. *Arch Argent Pediatr* 2021;119(4):e286-e297.

- Servicio de Kinesiofisiología.
- Programa de Atención, Docencia e Investigación de Pacientes con Enfermedades Neuromusculares.
- Servicio de Neurología.
- Hospital de Día Polivalente.

Hospital de Pediatría S.A.M.I.C. "Prof. Dr. Juan P. Garrahan", Ciudad Autónoma de Buenos Aires, Argentina.

Correspondencia:

Lic. Julieta Mozzoni:
Jmozzoni@garrahan.gov.ar

Financiamiento:

Ninguno.

Conflicto de intereses:

Ninguno que declarar.

Recibido: 18-9-2020

Aceptado: 11-2-2021

SIGLAS Y ABREVIATURAS

AME: atrofia muscular espinal.

CCI: coeficiente de correlación intraclase.

CI: consentimiento informado.

CVRS: calidad de vida relacionada con la salud.

DE: desviación estándar.

DMD: distrofia muscular de Duchenne.

EEM: error estándar de medición.

ENM: enfermedades neuromusculares.

EVA: escala visual análoga.

GROC: *global rating of change*.

IC95 %: intervalo de confianza del 95 %.

MCD: mínimo cambio detectable.

PedsQL™ 4.0: *Pediatric Quality of Life Inventory™* versión 4.0.

PedsQL™ NM 3.0: PedsQL™ Módulo Neuromuscular versión 3.0.

PGCPf: percepción global de la condición del paciente según el familiar.

PGCPk: percepción global de la condición del paciente según el kinesiólogo.

RIC: rango intercuartílico.

T0: tiempo inicial de toma del cuestionario.

T1: segundo tiempo de toma del cuestionario o *retest*.

INTRODUCCIÓN

Las enfermedades neuromusculares (ENM) son un grupo heterogéneo de patologías del nervio periférico y músculo. Se caracterizan por presentar debilidad muscular variable; la mayoría tiene origen

genético; su evolución es crónica y progresiva y producen mayor o menor discapacidad.¹ El concepto de calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) se refiere al impacto que una enfermedad tiene sobre la apreciación del paciente de su propio bienestar, considerando la percepción individual de sus limitaciones físicas y psicosociales.²

Desde una perspectiva integral, la evaluación de niños con condiciones crónicas incluye el uso de instrumentos genéricos y específicos que valoren la CVRS. Una de las herramientas disponibles es el cuestionario genérico *Pediatric Quality of Life Inventory* versión 4.0 (PedsQL™ 4.0), validado para la población pediátrica argentina.³ Existe además el instrumento PedsQL™ Módulo neuromuscular versión 3.0 (PedsQL™ NM 3.0), para evaluar específicamente a niños con esas patologías. En diversos trabajos este cuestionario demostró ser confiable para medir CVRS en pacientes neuromusculares entre 2 y 18 años.⁴⁻¹¹

En el Hospital Garrahan se atienden más de 400 niños de todo el país con ENM genéticamente determinadas, en el marco del programa multidisciplinario que funciona desde 2006.

Últimamente, se reconoce la importancia de incluir la CVRS como variable de resultado en los estudios de investigación o seguimiento clínico evolutivo de niños con ENM.

Dada la importancia de contar con una herramienta específica validada para medir la CVRS en nuestro país, el objetivo de este trabajo es evaluar las propiedades psicométricas del cuestionario PedsQL™ NM 3.0, versión en español para Argentina, en niños entre 2 y 18 años con ENM.

MATERIALES Y MÉTODOS

Estudio observacional, analítico, prospectivo, de evaluación de propiedades psicométricas del cuestionario PedsQL™ NM 3.0 versión en español para Argentina, traducido y adaptado culturalmente para la población argentina por *MAPI Research Trust*, quienes autorizaron su uso.

Este trabajo fue aprobado por el Comité Revisor y de Ética en Investigación del Hospital Garrahan el 19 de marzo del 2019 (N.º 1147). Se reporta siguiendo los lineamientos de las guías COSMIN (*Consensus-based Standards for the selection of health Measurements Instruments*).^{12,13} Cuenta con los recaudos establecidos por las normas éticas y legales que protegen los datos personales (Ley 25326).

Se incluyeron niños argentinos con ENM

entre 2 y 18 años, y sus padres, con una consulta previa con el kinesiólogo y que firmaron el consentimiento o asentimiento informado (CI) según corresponda.

Se excluyeron pacientes con otras enfermedades crónicas; pacientes que estuvieran cursando algún evento agudo; pacientes en fase terminal de su enfermedad y quienes no comprendieron las preguntas del cuestionario de su edad o inferior.

Se eliminaron aquellos que no completaron más del 50 % del cuestionario.^{14,15}

El PedsQL™ NM 3.0 consiste en encuestas autoadministradas para preadolescentes (8-12 años) y adolescentes (13-18 años) que evalúan tres dimensiones. El primer dominio, "Acerca de mi enfermedad neuromuscular", incluye 17 preguntas sobre problemas que la patología genera al niño y/o a la familia. Las 3 preguntas de la dimensión "La comunicación" cuestionan dificultades relacionadas con dicho aspecto. Las 5 preguntas del área "Acerca de nuestra familia" se centran en los problemas que genera la ENM en el funcionamiento familiar. La versión para niños de 5-7 años es administrada por un adulto e incluye solo el primer dominio. El apartado para padres posee las 3 dimensiones. En el grupo de 2-4 años, la encuesta solo la completan los padres.

En cada ítem, niños y padres responden en qué medida esa situación fue un problema en el último mes, según una escala tipo Likert de 5 puntos, donde 0 corresponde a "nunca" y 4, a "casi siempre". La puntuación se invierte y se transforma en una escala de 0 a 100, donde 0=100, 1=75, 2=50, 3=25 y 4=0. La versión para niños 5-7 años tiene 3 opciones de respuestas representadas con emoticones (nunca, a veces, siempre). El cálculo por dimensiones y la puntuación total se efectúa dividiendo la suma de las puntuaciones de los ítems por el número total de ítems respondidos. Puntuaciones más altas indican menores problemas.

Al inicio se recolectaron datos demográficos, de la patología y el nivel de estudios del cuidador que respondió el cuestionario.

La validez de constructo se refiere al grado en el que los puntajes del instrumento se relacionan con otras mediciones. Se establecieron 11 hipótesis con diferentes niveles de correlación entre los puntajes del PedsQL™ NM 3.0 y su dominio "Acerca de mi enfermedad neuromuscular" y las siguientes herramientas:

PedsQL™ 4.0: Cuestionario genérico que se

divide por edad y se administra y puntúa similar al PedsQL™ NM 3.0.³

Percepción global de la condición del paciente según el familiar (PGCPf): Consiste en la valoración del cuidador del estado del niño durante el último mes, según una escala visual análoga (EVA) de 0-10, donde 0 es “muy mala” y 10, “muy buena”.³

Percepción global de la condición del paciente (PGCPk): Versión modificada de la herramienta utilizada por Roizen M.³ Considerando la evaluación clínica y funcional, dos kinesiólogos determinaron cuánto afectó la ENM al paciente desde la última consulta según escala EVA, donde 0 indica “no afectó nada” y 10, “afectó mucho”.

Escala Vignos: Evaluación funcional de miembros inferiores con 10 ítems, con un puntaje de 1 para los pacientes que caminan y suben escaleras sin asistencia, y de 10 para aquellos en cama permanentemente.^{1,16}

Escala de Brooke: Clasificación funcional de los movimientos de las extremidades superiores en 6 niveles, donde 1 corresponde a la abducción simultánea de hombros y 6, sin uso funcional de manos.^{1,16}

Se realizó una prueba piloto en 30 sujetos para entrenamiento de los operadores en la administración de las herramientas y valorar el nivel de concordancia en PGCPk entre los kinesiólogos mediante el coeficiente de correlación intraclase (CCI) y sus respectivos intervalos de confianza al 95 % (IC 95 %). Este resultó aceptable, de 0,82 (0,66 a 0,91).^{17,18}

El estudio se realizó en dos tiempos. Durante la consulta presencial o tiempo cero (T0), una vez firmado el CI y registradas las variables demográficas, se administró el PedsQL™ NM 3.0 paralelamente a niños y padres. Luego se aplicaron las demás herramientas.

El tiempo uno (T1) o *retest* consistió en administrar el PedsQL™ NM 3.0 a los 10-15 días del T0 solo a los pacientes estables, valorado con el Global Rating of Change (GROC), según una escala ordinal con 3 categorías.¹⁹⁻²¹ Se le preguntó al familiar: “¿Cómo se encuentra su hijo desde la última evaluación: mejor, igual o peor?”. Se consideraron estables los sujetos que respondieron “Igual”. El T1 se realizó mediante mensajería telefónica, para disminuir el número de visitas al hospital.²²

Sobre la factibilidad de la herramienta, la validez de contenido se evaluó en los primeros 32 sujetos incluidos y sus cuidadores, mediante

preguntas sobre el contenido y la redacción del cuestionario, la necesidad de ayuda y el tiempo que tardaron en completarlo. Se estableció que debían responder al menos el 80 % para que la herramienta se considerara válida y representativa de la población objetivo.²³⁻²⁵ Para valorar la interpretabilidad, se consideró efecto suelo y techo si más del 15 % de todos los participantes obtuvieron el mínimo o máximo valor en los ítems del cuestionario en T0.²⁶

Con respecto a la confiabilidad de la herramienta, para evaluar la consistencia interna se utilizó el coeficiente alfa de Cronbach de los puntajes del PedsQL™ NM 3.0 en T0. Se consideró aceptable un valor entre 0.7 y 0.95.^{26,27} Valores de dicho coeficiente > 0.7 permiten la comparación de grupos, pero para uso individual deben ser superiores a 0.9.

Para la confiabilidad *test-retest*, se consideró al grupo de pacientes estables según la GROC en T1.²² Se calculó el CCI con sus respectivos IC 95 %.¹² Se utilizó un modelo de efectos aleatorios de 2 vías (CCI 2,1). Se consideró confiabilidad aceptable un CCI $\geq 0,70$.²⁶

El error de medición fue expresado como el error estándar de medición (EEM) ($DE \times \sqrt{1 - ICC}$)²⁷ y como mínimo cambio detectable (MCD) ($SEM \times 1.96 \times \sqrt{2}$).²⁸⁻³¹

Las diferencias de cada medición entre T0 y T1 frente a la media de ambas mediciones se expresaron en gráficos de Bland Altman, con sus IC 95 %.³²⁻³⁴

Para valorar la validez de constructo, se utilizó el coeficiente de correlación de Pearson o Spearman, según correspondiera. Los coeficientes > 0,50, 0,50-0,30 y < 0,30 se consideraron fuertes, moderados y pobres, respectivamente.³⁵ Se consideró validez de constructo aceptable la correspondencia de al menos el 75 % de las hipótesis establecidas.²⁶ Esta propiedad también fue evaluada mediante el contraste de grupos conocidos. Para las comparaciones se utilizó prueba *t* de student para muestras independientes o prueba U de Mann-Whitney, según correspondiera. Considerando la experiencia clínica de las investigadoras y lo reportado en la literatura,⁴⁻⁶ se plantearon hipótesis para evaluar las diferencias según la edad, deambulaci3n y necesidad de soporte ventilatorio. Las hipótesis se reportan con su puesta a prueba en la secci3n de resultados.

Las variables continuas con distribuci3n normal se reportaron como media y desviaci3n est3ndar (DE), o se utiliz3n mediana y rango

intercuartílico (RIC). Las variables categóricas se reportaron como número de presentación y porcentaje. Para determinar la distribución de la muestra se utilizó el test de Shapiro-Wilk o Kolmogorov-Smirnov, según correspondiera. Se consideró significativo un p-valor < 0,05. Para el análisis de los datos se utilizó el software IBM SPSS Macintosh, versión 24.0 (IBM Corp., Armonk, NY, USA).

RESULTADOS

Entre el 19 de marzo de 2019 y el 9 de marzo de 2020 se reclutaron 335 participantes, de los cuales 71 no cumplieron los criterios de inclusión y 77 fueron excluidos. Se analizaron 187 niños con sus familiares. Dos niños de 2-4 años, traqueotomizados y con ventilación permanente, que no podían comunicarse, fueron eliminados, ya que sus padres no pudieron reportar su estado y completar el cuestionario. Veinticuatro (13,0 %) no participaron de la evaluación de T1 (Figura 1).

Este grupo no fue considerado en los análisis longitudinales, pero sí para la valoración del resto de las propiedades psicométricas.

En la Tabla 1 se describen las características de los participantes.

Para analizar la factibilidad se incluyeron 32 sujetos. Seis eran mujeres y la mediana de edad fue de 10 años (RIC 5-14). El tiempo medio para completar el cuestionario fue de 4 minutos y 21 segundos (DE: 1 minuto, 28 segundos). En general los participantes comprendieron fácilmente su contenido. Solo 9 requirieron ayuda y fueron respondidos por el familiar debido a la edad del participante.

Sobre la impresión de la herramienta, 17 niños opinaron que preguntaba sobre cosas que les suceden diariamente y 29 familiares consideraron que cubría los aspectos más importantes de la condición de su hijo. Veintiún niños reportaron entender las preguntas y 30 familiares consideraron que estaban bien redactadas.

Figura 1. Flujograma

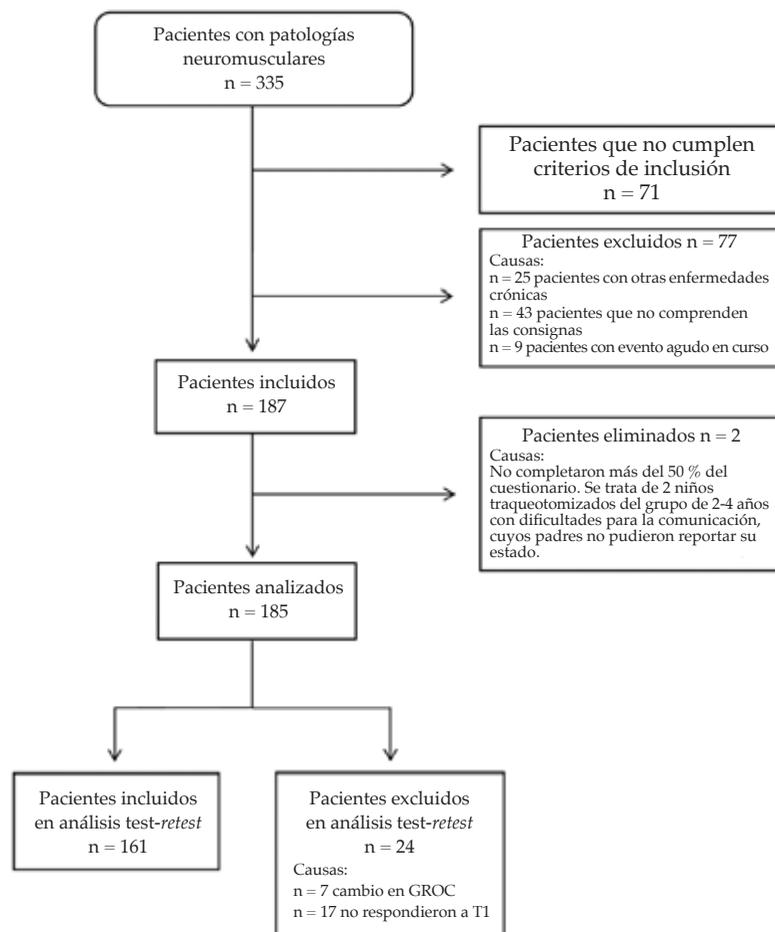


TABLA 1. Características de los participantes

Datos demográficos	Todos n = 185	T1 Completos n = 161	T1 Excluidos n = 24	Valor-p
Sexo masculino, n (%)	118 (63,8)	102 (63,4)	16 (66,7)	0,753
Edad, mediana (RIC), años	10 (6 - 13)	10 (6 - 13)	8 (6 - 12,75)	0,72
Edad en años por categorías, n (%)				0,549
2 a 4	28 (15,1)	26 (16,1)	2 (8,3)	
5 a 7	38 (20,5)	31 (19,3)	7 (29,2)	
8 a 12	64 (34,6)	55 (34,2)	9 (37,5)	
13 a 18	55 (29,7)	49 (30,4)	6 (25,0)	
Localidad, n (%)				0,316
CABA	13 (7,0)	13 (8,1)	0 (0)	
Gran Buenos Aires	83 (44,9)	73 (45,3)	10 (41,7)	
PBA e interior del país	89 (48,2)	75 (46,6)	14 (58,3)	
Escolaridad, n (%)				0,881
Ninguna	12 (6,5)	10 (6,2)	2 (8,3)	
Común	164 (88,6)	143 (88,8)	21 (87,5)	
Especial	3 (1,6)	3 (1,9)	0 (0)	
Domiciliaria	6 (3,2)	5 (3,1)	1 (4,2)	
Madre como familiar acompañante del niño, n (%)	165 (89,2)	142 (88,2)	23 (95,8)	0,479
Escolaridad del familiar acompañante, n (%)				0,6
Primaria incompleta	4 (2,2)	4 (2,5)	0 (0)	
Primaria completa	52 (28,1)	43 (26,7)	9 (37,5)	
Secundaria completa	76 (41,1)	68 (42,2)	8 (33,3)	
Terciario/universitario completo	53 (28,6)	46 (28,6)	7 (29,2)	
Características clínicas	Todos n = 185	T1 Completos n = 161	T1 Excluidos n = 24	Valor-p
Cobertura médica, n (%)	163 (88,1)	142 (76,7)	21 (87,5)	0,701
Edad de inicio de los síntomas, mediana (RIC), meses	12 (6 - 36)	12 (6 - 36)	12 (4,5 - 45)	0,871
Edad de diagnóstico, mediana (RIC), meses	36 (18 - 72)	36 (18 - 72)	48 (23 - 72)	0,287
Diagnóstico, n (%)				0,337
DMD/DMB	54 (29,2)	47 (29,2)	7 (29,2)	
AME	63 (34,1)	57 (35,4)	6 (25)	
Otras distrofias musculares	26 (14,1)	21 (13)	5 (20,8)	
Miopatías	20 (10,8)	19 (11,8)	1 (4,2)	
Otros	22 (11,9)	17 (10,6)	5 (20,8)	
Toma medicación para su condición, n (%)	109 (58,9)	98 (60,8)	12 (50)	0,568
Deambula, n (%)	94 (50,8)	82 (50,9)	12 (50)	0,932
Traqueostomía, n (%)	9 (4,9)	4 (2,5)	5 (20,8)	0,002
Soporte ventilatorio, n (%)				0,489
Ninguno	146 (78,9)	125 (77,6)	21 (87,5)	
Parcial	34 (18,4)	31 (19,2)	3 (12,5)	
Total	5 (2,7)	5 (3,10)	0 (0)	
PEDsQL genérico niño, mediana (RIC), puntos (*)	67,4 (54,3 - 78,3)	67,4 (54,5 - 78,3)	70,1 (47,8 - 78,5)	0,727
PEDsQL genérico familiar, media (DE), puntos	61,4 (50 - 72,8)	61,9 (51,6 - 72,8)	56,9 (42,9 - 67,9)	0,139
Escala Vignos, mediana (RIC), puntaje	6,5 (3 - 9)	6,5 (3 - 9)	7,5 (3 - 9)	0,59
Escala Brooke, mediana (RIC), puntaje	2 (1 - 3)	2 (1 - 3)	2,5 (2 - 3)	0,627
PGCP niño 5-7 años, mediana (RIC), puntaje (**)	2 (2 - 2)	2 (2 - 2)	2 (2 - 2)	0,786
PGCP niño >7 años, mediana (RIC), puntaje (***)	9 (7 - 10)	9 (7 - 10)	9,5 (8 - 10)	0,178
PGCP kinesiólogo, mediana (RIC), puntaje	1 (0 - 3)	1 (0 - 3)	1 (1 - 3)	0,749
PGCP familiar, mediana (RIC), puntaje	8 (7 - 9)	8 (7 - 9,25)	8 (7 - 9)	0,484

T1: retest; CABA: Ciudad Autónoma de la Ciudad de Buenos Aires; RIC: rango intercuartílico; DMD: distrofia muscular de Duchenne; DMB: distrofia muscular de Becker; AME: atrofia muscular espinal; PEDsQL: *Pediatric Quality of Life Inventory*[™]; PGCP: percepción global de la condición del paciente.

* Calculado con una n = 157 (niños de 5-18 años).

** Calculado con una n = 38 (rango de posibles valores: 0-2).

*** Calculado con una n = 119 (rango de posibles valores: 0-10).

Sobre la consistencia interna, el coeficiente alfa de Cronbach resultó aceptable con valores de 0,82 y 0,87 para niños y familiares respectivamente. En la *Tabla 2* se presentan los coeficientes por dominio para los diferentes grupos etarios en T0.

Para valorar la confiabilidad test-retest fueron considerados 161 participantes (95,8 %), quienes reportaron estar estables. La mediana de días entre T0 y T1 fue de 15 (RIC 13-19). El CCI (2,1) en la versión niños resultó de 0,704 (IC al 95 %: 0,670 - 0,780) y en la versión familiar 0,829 (IC al 95 %: 0,773 - 0,871), valores considerados aceptables. En la *Tabla 2* se reportan los CCI (2,1) del puntaje total y por dominio del PedsQL™ NM 3.0 con los EEM y MCD. Los gráficos de Bland Altman de ambas versiones se presentan en la *Figura 2*.

Sobre la validez del constructo, en la *Tabla 3* se presentan los coeficientes de correlación de Spearman para los contrastes entre las dos versiones del PedsQL™ NM 3.0 y los criterios de correlación seleccionados. Globalmente se probaron 8 de las 11 hipótesis establecidas (72,7 %). En la *Tabla 3* se reportan los resultados del contraste de grupos conocidos. Se probaron las hipótesis sobre las diferencias de CVRS en padres de niños deambuladores o no, y las relacionadas con el soporte ventilatorio en ambas versiones.

En la *Tabla 4* se presentan los puntajes del PedsQL™ NM 3.0 total y por dominio para los diferentes grupos etarios de las versiones niño y familiar. Sobre la interpretabilidad, la media del PedsQL™ NM 3.0 en los 157 niños que completaron la encuesta en T0 fue de 73,78 puntos. El promedio de los cuestionarios de 185 familiares en T0 fue de 67,7 puntos. Dos pacientes y dos padres presentaron efecto techo.

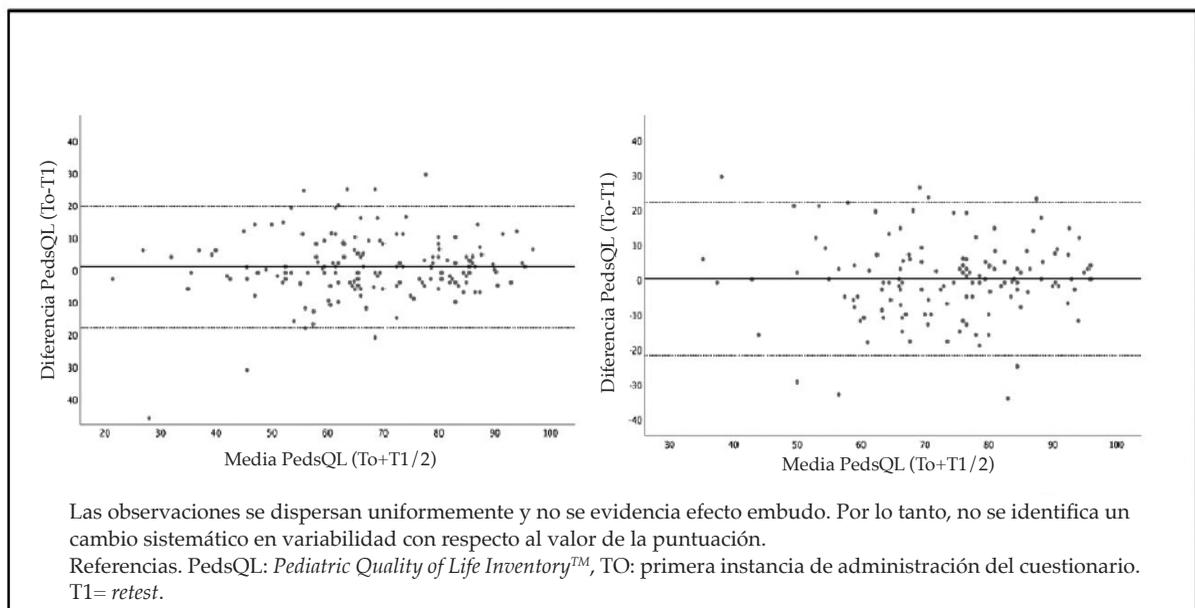
DISCUSIÓN

Los resultados de la validación de las propiedades psicométricas del PedsQL™ NM 3.0 fueron satisfactorios para la versión de niños y padres.

Ambas versiones del cuestionario mostraron una consistencia interna aceptable, similar a lo informado por otros autores.⁴⁻¹⁰

Los valores del test-retest fueron aceptables y demostraron que la herramienta es confiable para evaluar pacientes clínicamente estables. La versión niños mostró menor confiabilidad, principalmente en los dominios “La comunicación” y “Acerca de nuestra familia”. Esto fue similar a otras validaciones del cuestionario, lo que limitaría su utilidad para evaluar dichos aspectos particulares.^{4-6,10}

FIGURA 2. Gráficos de Brand-Altman, Peds QL Módulo Neuromuscular™. A la izquierda versión para familiares y a la derecha versión para niños



Sobre la validez del constructo, se observó fuerte correlación entre el PedsQL™ 4.0 y el PedsQL™ NM 3.0 en la versión padres y niños, al igual que en otras validaciones.⁴⁻⁶ La versión genérica aporta más información acerca del aspecto social, emocional y escolar de los niños. Posiblemente, la utilización de ambas escalas permita una valoración más integral de la CVRS.

Las ENM son patologías crónicamente discapacitantes. Los niños afectados presentan adaptaciones y/o compensaciones que no son percibidas igual por sus cuidadores. Similar a otras validaciones, los puntajes obtenidos en las encuestas de los padres fueron menores que los de sus hijos.^{4,5,7-9} Considerando esto, se estableció correlación pobre entre la PGCPf y el cuestionario

TABLA 2. Consistencia interna y confiabilidad test-retest

Versión niño									
PEDsQL Neuromuscular™	n	Alfa de Cronbach	n	T0 media (DE)	T1 media (DE)	CCI (IC 95 %)	EEM	MCD 95	
Global	109	0,822	135	74,0 (14,7)	73,7 (14,4)	0,704 (0,67 - 0,780)	8	22,17	
2-4 años	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	
5-7 años	37	0,861	31	73,8 (17,6)	70,2 (17,0)	0,717 (0,494 - 0,852)	9,36	25,95	
8-12 años	58	0,843	55	74,6 (15,5)	74,4 (15,3)	0,745 (0,599 - 0,843)	7,82	21,69	
13-18 años	51	0,789	49	73,5 (11,7)	75,1 (11,2)	0,716 (0,548 - 0,829)	6,23	17,28	
Acerca de mi enfermedad NM	149	0,801	161	75,2 (14,9)	74,4 (14,9)	0,769 (0,725 - 0,862)	7,16	19,85	
2-4 años	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	
5-7 años	37	0,861	31	73,8 (17,6)	70,2 (17,0)	0,717 (0,494 - 0,852)	9,36	25,95	
8-12 años	59	0,756	55	76,6 (14,9)	75,4 (15,5)	0,674 (0,499 - 0,796)	8,51	23,58	
13-18 años	53	0,761	49	74,4 (13,2)	76,0 (12,4)	0,769 (0,625 - 0,862)	6,34	17,58	
La comunicación	118	0,738	161	68,9 (27,3)	71,3 (26,5)	0,547 (0,318 - 0,716)	18,37	50,93	
2-4 años	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	
5-7 años	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	
8-12 años	63	0,701	55	68,8 (27,8)	70,5 (27,1)	0,614 (0,416 - 0,756)	17,27	47,87	
13-18 años	55	0,784	49	68,9 (27)	72,1 (26,2)	0,547 (0,318 - 0,716)	18,17	50,37	
Acerca de las opciones de mi familia	114	0,624	161	72,6 (20,9)	73 (20,4)	0,648 (0,450 - 0,785)	12,43	34,45	
2-4 años	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	
5-7 años	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	NA	
8-12 años	62	0,72	55	71,8 (24,3)	73,3 (22)	0,660 (0,477 - 0,788)	14,17	39,27	
13-18 años	52	0,382	49	73,4 (16,6)	74,1 (15,7)	0,648 (0,450 - 0,785)	9,85	27,3	
Versión familiar									
Global	156	0,873	161	68,5 (16,7)	67,6 (15,8)	0,829 (0,773 - 0,871)	6,9	19,14	
2-4 años	21	0,736	26	69,1 (17,9)	68,6 (16,2)	0,710 (0,449 - 0,859)	9,64	26,71	
5-7 años	34	0,915	31	68,8 (18)	67,3 (17,7)	0,906 (0,816 - 0,953)	5,52	15,29	
8-12 años	54	0,828	55	70,7 (14,2)	69,1 (14,8)	0,837 (0,737 - 0,902)	5,73	15,89	
13-18 años	47	0,899	49	65,4 (17,8)	65,6 (15,6)	0,832 (0,721 - 0,902)	7,29	20,22	
Acerca de la enfermedad NM	161	0,83	161	70,1 (16,6)	68,9 (16,2)	0,833 (0,778 - 0,875)	6,78	18,8	
2-4 años	22	0,729	26	73,5 (13,1)	72,1 (15,5)	0,763 (0,540 - 0,886)	6,37	17,68	
5-7 años	34	0,891	31	69,6 (19,3)	68,1 (18,3)	0,932 (0,864 - 0,966)	5,03	13,95	
8-12 años	58	0,784	55	71,3 (15,5)	69,8 (15,5)	0,802 (0,683 - 0,879)	6,89	19,11	
13-18 años	47	0,85	49	67,2 (17,5)	66,8 (16)	0,811 (0,687 - 0,889)	7,61	21,09	
La comunicación	180	0,85	161	64,7 (32,3)	61,8 (32,1)	0,686 (0,595 - 0,759)	18,1	50,17	
2-4 años	25	0,931	26	73,5 (39,1)	52,9 (40,8)	0,692 (0,425 - 0,849)	21,7	60,15	
5-7 años	38	0,832	31	68,3 (30,2)	71,5 (27,8)	0,693 (0,455 - 0,839)	16,73	46,38	
8-12 años	62	0,741	55	69,5 (28,6)	64,1 (27,7)	0,675 (0,501 - 0,796)	16,3	45,19	
13-18 años	55	0,897	49	57,6 (33,1)	58 (33)	0,680 (0,494 - 0,806)	18,72	51,9	
Acerca de las opciones de nuestra familia	178	0,694	161	67 (21,4)	66,7 (21,8)	0,740 (0,661 - 0,803)	10,91	30,2	
2-4 años	27	0,489	26	68,7 (18,7)	66,7 (21,8)	0,726 (0,479 - 0,867)	9,79	27,13	
5-7 años	36	0,791	31	66,1 (20,9)	61,5 (22,5)	0,659 (0,408 - 0,819)	12,2	33,8	
8-12 años	62	0,604	55	69,4 (20,3)	69,9 (20,3)	0,782 (0,653 - 0,867)	9,48	26,27	
13-18 años	53	0,753	49	63,9 (24,1)	66,6 (23)	0,758 (0,609 - 0,856)	11,85	32,86	

DE: desviación estándar. EEM: error estándar de medición. CCI: coeficiente de correlación intraclase. MCD 95 %: mínimo cambio detectable. PEDsQL: *Pediatric Quality of Life Inventory*™. NM: neuromuscular. NA: no aplica. T0: primer tiempo de aplicación del cuestionario. T1: *retest*.

de niños, que no se corroboró, aunque obtuvo un valor cercano al punto de corte. La correlación pobre obtenida entre las escalas de Vignos y Brooke con el dominio funcional "Acerca de mi enfermedad neuromuscular" y las diferencias

al comparar CVRS entre niños deambuladores o no y sus cuidadores demuestra que los pacientes están adaptados a su condición y no la perciben como un problema.³⁶⁻³⁸ El compromiso respiratorio parece impactar más en la CVRS, ya que se

TABLA 3. Validez de constructo: hipótesis de correlación y puesta a prueba para la versión niño y familiar

Versión niño															
PedsQL NM	n	PedsQL Genérico	n	Escala Vignos	n	Escala Brooke	n	PGCP kinesiólogo	n	PGCP familiar	n				
				H1: Correlación positiva fuerte				H2: Correlación positiva pobre							
Global	157	0,624							157	0,306	157				
2-4 años		NC									NC				
5-7 años	38	0,663							38	0,203	38				
8-12 años	64	0,643							64	0,314	64				
13-18 años	55	0,587							55	0,377	55				
				H3: Correlación negativa pobre		H4: Correlación negativa pobre		H5: Correlación negativa pobre							
Acerca de mi enfermedad NM			157	-0,169	157	-0,175	157	-0,152							
2-4 años				NA		NA		NA							
5-7 años			38	0,01	38	-0,056	38	-0,361							
8-12 años			64	-0,314	64	-0,33	64	-0,016							
13-18 años			55	-0,169	55	-0,141	55	-0,142							
Versión familiar															
PedsQL NM	n	PedsQL Genérico	n	Escala Vignos	n	Escala Brooke	n	PGCP kinesiólogo	n	PGCP familiar	n	PedsQL NM niño			
				H6: Correlación positiva fuerte				H7: Correlación positiva fuerte				H11: Correlación positiva moderada			
Global	185	0,691							185	0,293	185	0,446			
2-4 años	28	0,428							28	-0,067	NA	NA			
5-7 años	38	0,816							38	0,452	38	0,439			
8-12 años	64	0,732							64	0,086	64	0,439			
13-18 años	55	0,71							55	0,5	55	0,444			
				H8: Correlación negativa moderada		H9: Correlación negativa moderada		H10: Correlación negativa moderada							
Acerca de la enfermedad NM			185	-0,475	185	-0,437	185	-0,291							
2-4 años			28	-0,368	28	-0,382	28	-0,509							
5-7 años			38	-0,381	38	-0,377	38	-0,505							
8-12 años			64	-0,624	64	-0,51	64	-0,025							
13-18 años			55	-0,449	55	-0,479	55	-0,265							

PGCP: percepción global de la condición del paciente. PedsQL: *Pediatric Quality of Life Inventory*™. NM: neuromuscular.

NC: no corresponde. H: hipótesis.

Se resaltan las 8 de 11 (72,7 %) hipótesis corroboradas del PedsQL NM (en negrita).

Todas las medidas de correlación fueron expresadas utilizando el coeficiente Rho de Spearman.

TABLA 3. (Continuación)

Validez de Constructo. Contraste de grupos conocidos			
H12: Puntaje total es mayor en niños de 2-13 años en comparación con los del subgrupo de 14-18 años.			
PedsQL NM del niño	n	Mediana (RIC)	p = 0,984
Niños de 2- 13 años	114	74,5 (62,5 - 86)	
Niños de 14-18 años	43	75 (66 - 84)	
H13: Puntaje total es mayor en padres de niños de 2-13 años en comparación con los del subgrupo de 14-18 años.			
PedsQL NM del familiar	n	Mediana (RIC)	p = 0,155
Padres de niños de 2-13 años	142	69,5 (60 - 81)	
Padres de niños de 14-18 años	43	67 (49-81)	
H14: Puntaje total es menor en niños no deambuladores en comparación con los deambuladores.			
PedsQL NM del niño	n	Media (DE)	p = 0,43
No deambuladores	73	72,7 (15,3)	
Deambuladores	84	74,7 (15,7)	
H15: Puntaje total es menor en padres de niños no deambuladores en comparación con los deambuladores.			
PedsQL NM del familiar	n	Mediana (RIC)	p<0,001
No deambuladores	91	62 (51 - 71)	
Deambuladores	94	77,5 (67-86)	
H16: Puntaje total es menor en niños que requieren soporte ventilatorio en comparación con los que no presentan soporte ventilatorio.			
PedsQL NM del niño	n	Mediana (RIC)	p = 0,03
Con requerimiento de soporte ventilatorio	32	68,8 (61,8 - 80,7)	
Sin requerimiento de soporte ventilatorio	125	77 (66 - 87)	
H17: Puntaje total es menor en padres de niños que requieren soporte ventilatorio en comparación con los que no presentan soporte ventilatorio.			
PedsQL NM del familiar	n	Mediana (RIC)	p = 0,002
Con requerimiento de soporte ventilatorio	39	60 (51 - 72)	
Sin requerimiento de soporte ventilatorio	146	71 (60,7 - 82,2)	

PEDsQL: *Pediatric Quality of Life Inventory*TM. NM: neuromuscular. H: hipótesis. RIC: rango intercuartílico. DE: desviación estándar.

obtuvieron diferencias significativas del puntaje del cuestionario en niños y padres con soporte ventilatorio.

La correlación del cuestionario de los familiares y la PGCPf no obtuvo los resultados esperados, posiblemente porque el familiar reportó cómo se encontraba su hijo en el último mes, considerando aspectos vinculares y emocionales no incluidos en esta herramienta. La PGCPk y la dimensión "Acerca de la enfermedad neuromuscular de mi hijo" tampoco alcanzaron la correlación planteada. Esto podría explicarse porque la primera compara el estado actual del paciente respecto a la última consulta a los 6 meses, mientras que la segunda lo valora en el último mes. Bach observó que la apreciación de los cuidadores sobre la CVRS de niños con AME I es significativamente mayor a la percibida por sus médicos.³⁸

A diferencia de la versión española⁷⁻⁹, las medias de puntuaciones fueron superiores a 60 puntos, con excepción del dominio "La comunicación" de la versión familiar del grupo de

13-18 años, que fue de 55 puntos. Como sugiere Girabent-Farré, esto podría relacionarse con aspectos psicosociales y comunicativos propios de la adolescencia.⁹ Al explorar la CVRS según la edad, no hubo diferencias en ambas versiones.

Este trabajo cuenta con limitaciones. El *retest* no fue realizado presencialmente, ya que casi la mitad de los pacientes incluidos no residían cerca del hospital. Por esto, no podemos asegurar que las respuestas de los niños hayan sido autoadministradas, particularmente en la población de 5-7 años, que necesita de un adulto que administre las preguntas sin interferir en sus respuestas.

Por otro lado, la muestra de 2-4 y 5-7 años fue menor respecto al resto. Esto podría deberse a que uno de los criterios de inclusión era una evaluación previa y muchas ENM suelen diagnosticarse luego de la primera infancia. Coincidentemente, la mediana de edad fue de 10 años.

Este estudio también cuenta con fortalezas. A partir de estos resultados, contamos con una

herramienta válida para medir objetivamente CVRS en la población pediátrica argentina con ENM. La realización de este estudio en un hospital público de referencia nacional permitió reclutar niños de todo el país, a pesar de la baja prevalencia de estas enfermedades en la población general.

En investigaciones futuras, es importante evaluar la utilidad del cuestionario PedsQL™ NM 3.0 en el seguimiento evolutivo de niños con estas patologías y/o como instrumento de medición en nuevos proyectos científicos que se desarrollen en el país.

Tabla 4. Valoración de la interpretabilidad

Versión niño					
PEDsQL Neuromuscular™	n	Media (DE)	Valores min.-máx.	Suelo n (%)	Techo n (%)
Niño					
Global	157	73,78 (15,5)	14,7 - 100	0 (0)	2 (1,3)
2-4 años	NA	NC	NC	NC	NC
5-7 años (*)	38	70,6 (20,3)	14,7 - 100	0 (0)	2 (5,3)
8-12 años (*)	64	75,0 (14,8)	36 - 99	0 (0)	0 (0)
13-18 años (*)	55	74,5 (12,1)	51 - 96	0 (0)	0 (0)
Acerca de mi enfermedad neuromuscular	157	74,7 (15,7)	14,7 - 100	0 (0)	2 (1,3)
2-4 años	NA	NC	NC	NA	NC
5-7 años (*)	38	70,6 (20,3)	14,7 - 100	0 (0)	2 (5,3)
8-12 años (*)	64	76,7 (14,2)	36,8 - 98,5	0 (0)	0 (0)
13-18 años	55	75,4 (13,4)	48,5 - 97,0	0 (0)	0 (0)
La comunicación	118	69,5 (27,4)	0 - 100	2 (1,7)	29 (24,6)
2-4 años	NA	NC	NC	NC	NC
5-7 años	NA	NC	NC	NC	NC
8-12 años	64	70,0 (27,9)	0 - 100	2 (3,1)	16 (25,0)
13-18 años	55	69,0 (27,2)	8,3 - 100	0 (0)	13 (23,6)
Acerca de las opciones de mi familia	18	74,0 (20,5)	20 - 100	0 (0)	19 (16,1)
2-4 años	NC	NC	NC	NC	NC
5-7 años	NC	NC	NC	NC	NC
8-12 años	64	73,1 (23,5)	20 - 100	0 (0)	12 (18,7)
13-18 años	55	75,1 (16,6)	40 - 100	0 (0)	7 (12,7)
Versión familiar					
Global	185	67,7 (17,0)	5 - 100	0 (0)	2 (1,1)
2-4 años	28	68,1 (17,7)	5 - 88,1	0 (0)	0 (0)
5-7 años (*)	38	65,9 (18,9)	25 - 100	0 (0)	1 (2,6)
8-12 años (*)	64	71,0 (13,5)	35 - 96	0 (0)	0 (0)
13-18 años (*)	55	64,9 (18,6)	20 - 100	0 (0)	1 (1,8)
Acerca de la enfermedad neuromuscular	185	69,4 (16,8)	176 - 100	0 (0)	2 (1,1)
2-4 años (*)	28	72,0 (13,8)	48,5 - 92,6	0 (0)	0 (0)
5-7 años (*)	38	67,1 (20,0)	17,6 - 100	0 (0)	1 (2,6)
8-12 años (*)	64	71,3 (14,8)	30,9 - 97	0 (0)	0 (0)
13-18 años	55	67,5 (18,0)	22 - 100	0 (0)	1 (1,8)
La comunicación	185	64,0 (32,4)	0 - 100	16 (8,6)	42 (22,7)
2-4 años	28	63,6 (38,3)	0 - 100	5 (17,8)	8 (28,6)
5-7 años	38	65,1 (31)	0 - 100	3 (7,9)	7 (18,4)
8-12 años	64	70,6 (27,4)	8,3 - 100	0 (0)	17 (26,6)
13-18 años	55	55,7 (34,6)	0 - 100	8 (14,5)	10 (18,2)
Acerca de las opciones de nuestra familia	185	65,7 (22,2)	10 - 100	0 (0)	15 (8,1)
2-4 años (*)	28	67,8 (18,4)	35 - 100	0 (0)	2 (7,1)
5-7 años (*)	38	62,1 (23,5)	15 - 100	0 (0)	2 (5,3)
8-12 años (*)	64	70,4 (19,5)	15 - 100	0 (0)	6 (9,4)
13-18 años (*)	55	61,5 (25,2)	10 - 100	0 (0)	5 (9,1)

RIC: rango intercuartílico; DMD: distrofia muscular de Duchenne; DMB: distrofia muscular de Becker;

AME: atrofia muscular espinal; PEDsQL: *Pediatric Quality of Life Inventory*™. NM: neuromuscular.

(*) Valores expresados como media y desviación estándar (DE). NC: no corresponde.

CONCLUSIONES

La versión en español para Argentina del cuestionario PedsQL™ NM 3.0 para niños y padres presenta valores aceptables de confiabilidad, consistencia interna y validez del constructo. Su uso es recomendable para comparación de grupos y utilizando el puntaje total o su primer dominio “Acerca de mi enfermedad neuromuscular”, en contextos clínicos o de investigación. ■

Agradecimientos:

Al Prof. Lic. Andreu Mauro, por el asesoramiento metodológico y estadístico.

A los pacientes y las familias que participaron en este estudio.

A los profesionales del Servicio de Kinesiología y del Programa de Atención, Docencia e Investigación de Pacientes con Enfermedades Neuromusculares del Hospital de Pediatría S.A.M.I.C. Prof. Dr. Juan P. Garrahan.

REFERENCIAS

1. Febrer Rotger A. Rehabilitación de las enfermedades neuromusculares en la infancia. Madrid: Panamericana; 2015.
2. Schwartzmann L. Calidad de vida relacionada con la Salud: Aspectos conceptuales. *Cienc Enferm.* 2003; 9(2):9-21.
3. Roizen M, Rodríguez S, Bauer G, Medin G, et al. Initial validation of the Argentinean Spanish version of the PedsQL™ 4.0 Generic Core Scales in children and adolescents with chronic diseases: acceptability and comprehensibility in low-income settings. *Health Qual Life Outcomes.* 2008; 6:59.
4. Hu J, Jiang L, Hong S, Cheng L, et al. Reliability and validity of the Chinese version of the pediatric quality of life inventory (PedsQL™) 3.0 neuromuscular module in children with Duchenne muscular dystrophy. *Health Qual Life Outcomes.* 2013; 11:47.
5. Davis S, Hynan L, Limbers C, Andersen C, et al. The PedsQL™ in Pediatric Patients with Duchenne Muscular Dystrophy: Feasibility, Reliability, and Validity of the Pediatric Quality of Life Inventory Neuromuscular Module and Generic Core Scales. *J Clin Neuromusc Dis.* 2010; 11(3):97-109.
6. Iannaccone S, Hynan L, Morton A, Buchanan R, et al. The PedsQL™ in Pediatric Patients with Spinal Muscular Atrophy: Feasibility, Reliability, and Validity of the Pediatric Quality of Life Inventory™ Generic Core Scales and Neuromuscular Module. *Neuromuscul Disord.* 2009; 19(12):805-12.
7. Girabent-Farrés M, Monné-Guasch L, Bagur-Calafat C, Fagoaga Mata J. Traducción y validación al español del módulo neuromuscular de la escala Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL): evaluación de la calidad de vida percibida por padres de niños de 2-4 años con enfermedades neuromusculares. *Rev Neurol.* 2018; 66(3):81-8.
8. Girabent-Farrés M, Bagur-Calafat C, Amor-Barbosa M, Natera-de Benito D, et al. Traducción y validación al español del módulo neuromuscular de la escala Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL): evaluación de la calidad de vida autopercebida por niños de 5-7 años con enfermedades neuromusculares y por sus padres. *Rev Neurol.* 2019; 69(11):442-52.
9. Girabent-Farrés M, Fagoaga J, Amor-Barbosa M, Bagur-Calafat C. Traducción y validación al español del módulo neuromuscular de la escala Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL): evaluación de la calidad de vida autopercebida por niños de 8-18 años con enfermedades neuromusculares y por sus padres. *Rev Neurol.* 2018; 67(11):425-35.
10. Thongsing A, Suksangkarn Y, Sanmaneechai O. Reliability and validity of the Thai pediatric quality of life inventory™ 3.0 neuromuscular module. *Health Qual Life Outcomes.* 2020; 18(1):243.
11. Vaidya S, Boes S. Measuring quality of life in children with spinal muscular atrophy: a systematic literature review. *Qual Life Res.* 2018; 27(12):3087-94.
12. Mokkink LB, Terwee CB, Patrick DL, Alonso J, et al. The COSMIN checklist for assessing the methodological quality of studies on measurement properties of health status measurement instruments: an international Delphi study. *Qual Life Res.* 2010; 19(4):539-49.
13. Terwee CB, Mokkink LB, Knol DL, Ostelo RW, et al. Rating the methodological quality in systematic reviews of studies on measurement properties: a scoring system for the COSMIN checklist. *Qual Life Res.* 2012; 21(4):651-7.
14. Varni JW. Scaling and Scoring of the Pediatric Quality of Life Inventory™ PedsQL™. Lyon: Mapi Research Trust; 2007. [Acceso: 11 de febrero de 2021]. Disponible en: <https://www.pedsq.org/PedsQL-Scoring.pdf>
15. Fairclough DL, Cella DF. Functional Assessment of Cancer Therapy (FACT-G): non-response to individual questions. *Qual Life Res.* 1996; 5(3):321-9.
16. Brooke MH, Griggs RC, Fenichel GM, Shumate JB, Pellegrino RJ. Clinical Trial in duchenne dystrophy. I. The design of the protocol. *Muscle Nerve.* 1981; 4(3):186-97.
17. Mokkink LB, Terwee CB, Patrick DL, Alonso J, et al. The COSMIN study reached international consensus on taxonomy, terminology, and definitions of measurement properties for health-related patient-reported outcomes. *J Clin Epidemiol.* 2010; 63(7):737-45.
18. Koo TK, Li MY. A Guideline of Selecting and Reporting Intraclass Correlation Coefficients for Reliability Research. *J Chiropr Med.* 2016; 15(2):155-63.
19. Jaeschke R, Singer J, Guyatt GH. Measurement of health status. Ascertain the minimal clinically important difference. *Control Clin Trials.* 1989; 10(4):407-15.
20. Redelmeier DA, Lorig K. Assessing the Clinical Importance of Symptomatic Improvements. *Arch Intern Med.* 1993; 153(11):1337-42.
21. Feinstein AR, Josephy BR, Wells CK. Scientific and clinical problems in indexes of functional disability. *Ann Intern Med.* 1986; 105(3):413-20.
22. Dunaway S, Montes J, Montgomery M, Battista V, et al. Reliability of telephone administration of the PedsQL Generic Quality of Life Inventory and Neuromuscular Module in spinal muscular atrophy (SMA). *Neuromuscul Disord.* 2010; 20(3):162-5.
23. Terwee CB, Prinsen CAC, Chiarotto A, Westerman, et al. COSMIN methodology for evaluating the content validity of patient-reported outcome measures: a Delphi study. *Qual Life Res.* 2018; 27(5):1159-70.
24. De Vet HC, Terwee CB, Mokkink LB, Knol DL. Measurement in medicine: a practical guide. Cambridge: Cambridge University Press; 2011.
25. Altman DG. Statistics in medical journals: some recent trends. *Stat Med.* 2000; 19(23):3275-89.
26. Terwee CB, Bot SD, de Boer MR, van der Windt DA, et al. Quality criteria were proposed for measurement properties

- of health status questionnaires. *J Clin Epidemiol.* 2007; 60(1):34-42.
27. Tavakol M, Dennick R. Making sense of Cronbach's alpha. *Int J Med Educ.* 2011; 2:53-5.
 28. Stratford P. Reliability: consistency or differentiating among subjects? *Phys Ther.* 1989; 69(4):299-300.
 29. Beckerman H, Roebroeck ME, Lankhorst GJ, Becher JG, et al. Smallest real difference, a link between reproducibility and responsiveness. *Qual Life Res.* 2001; 10(7):571-8.
 30. De Vet HC, Bouter LM, Bezemer PD, Beurskens AJ. Reproducibility and responsiveness of evaluative outcome measures. Theoretical considerations illustrated by an empirical example. *Int J Technol Assess Health Care.* 2001; 17(4):479-87.
 31. De Vet HC, Terwee CB, Ostelo RW, Beckerman H, et al. Minimal changes in health status questionnaires: distinction between minimally detectable change and minimally important change. *Health Qual Life Outcomes.* 2006; 4:54.
 32. Bland JM, Altman DG. A note on the use of the intraclass correlation coefficient in the evaluation of agreement between two methods of measurement. *Comput Biol Med.* 1990; 20(5):337-40.
 33. Bland JM, Altman DG. Measuring agreement in method comparison studies. *Stat Methods Med Res.* 1999; 8(2):135-60.
 34. Giavarina D. Understanding Bland Altman analysis. *Biochemia Med (Zagreb).* 2015; 25(2):141-51.
 35. Prinsen CAC, Mokkink LB, Bouter LM, Alonso J, et al. COSMIN guideline for systematic reviews of patient-reported outcome measures. *Qual Life Res.* 2018; 27(5):1147-57.
 36. Uttley L, Carlton J, Woods HB, Brazier J. A review of quality of life themes in Duchenne muscular dystrophy for patients and carers. *Health Qual Life Outcomes.* 2018; 16(1):237.
 37. Wei Y, Speechley K, Campbell C. Health-Related Quality of Life in Children with Duchenne Muscular Dystrophy: A Review. *J Neuromuscul Dis.* 2015; 2(3):313-24.
 38. Bach JR, Vega J, Majors J, Friedman A. Spinal muscular atrophy type 1 quality of life. *Am J Phys Med Rehabil.* 2003; 82(2):137-42.