

АНАЛИЗ СПОСОБОВ НЕИНСТРУМЕНТАЛЬНОЙ ОЦЕНКИ ФУНКЦИОНАЛЬНОГО СОСТОЯНИЯ БОЛЬНЫХ С НЕЙРОМЫШЕЧНЫМ СКОЛИОЗОМ

Ахмедова М.А.¹, Щурова Е.Н.¹

¹ФГБУ «Российский научный центр «Восстановительная травматология и ортопедия» имени академика Г.А. Илизарова» Минздрава России, Курган, e-mail: office@rncvto.ru

Цель работы – анализ различных способов неинструментальной оценки функционального состояния, используемых в настоящее время у больных с нейромышечным сколиозом. Результаты анализа литературы, посвященной использованию шкал, анкет и опросников для оценки состояния больных с нейромышечным сколиозом, свидетельствуют о том, что исследование результатов на основе данных пациентов является важным инструментом количественной оценки воздействия лечения деформации позвоночника на функциональное состояние и глобальное качество жизни. Однако в настоящее время в литературе отсутствует общая анкета оценки состояния пациента и (или) качества жизни, подходящая для всех пациентов с нервно-мышечным сколиозом. Кроме того, степень доказательств улучшения функциональных результатов, качества жизни после проведенного лечения очень низка. Необходим международный консенсус в отношении того, что должен включать этот предполагаемый сбор данных о пациенте. Очень важно обеспечение согласованности во всех учреждениях, и это должно быть в центре будущей работы в этой области по всем результатам исследования. Кроме того, в будущем было бы предпочтительно проводить каждое собеседование по телефону и/или с профессионалом, не являющимся врачом, чтобы получить более объективные ответы.

Ключевые слова: нейромышечный сколиоз, оценка функционального состояния, шкалы, анкеты, опросники.

ANALYSIS OF THE WAYS FOR NON-INSTRUMENTAL EVALUATION OF FUNCTIONAL CONDITION OF THE PATIENTS WITH NEUROMUSCULAR SCOLIOSIS

Akhmedova M.A.¹, Shchurova E.N.¹

¹FSBI Russian Ilizarov Scientific Centre «Restorative Traumatology and Orthopaedics» of the RF Ministry of Health, Kurgan, e-mail: office@rncvto.ru

The purpose of the work consists in analyzing various ways of non-instrumental evaluation of functional condition which are used at present in patients with neuromuscular scoliosis. The results of analyzing the literature on using scales, personal profiles and questionnaires to evaluate the condition of the patients with neuromuscular scoliosis evidences of the fact that studying results on the basis of patients' data are important tools for quantifying the impact of treatment the spine deformity on functional condition and global quality of life. However, at present there is no general questionnaire in the literature to evaluate the patient's condition and (or) quality of life, suitable for all the patients with neuromuscular scoliosis. In addition, the degree of evidence of improving functional results, quality of life after the treatment performed is very low. International consensus is needed on what this expected patient data collection should include. Ensuring coherence in all institutions is very important, and this should be at the center of future work in this area for all research results. In addition, it would be preferable in the future to conduct each interview by telephone and/or with a professional who is not a doctor in order to get more objective answers.

Keywords: neuromuscular scoliosis, evaluation of functional condition, scales, personal profiles, questionnaires.

При нервно-мышечных заболеваниях одной из наиболее распространенных деформаций скелета является сколиоз [1]. Искривление позвоночника чаще возникает в раннем возрасте и интенсивно прогрессирует как во время роста, так и после созревания скелета [2]. Частота возникновения нервно-мышечного сколиоза (НМС) варьирует от 25 до 100% и зависит от основного заболевания [3].

Оценка функциональных нарушений является важным аспектом клинического обследования [4]. Однако ценность прогноза при физическом (клиническом) осмотре недостаточно высока [1, 5, 6]. Кроме того, степень доказательности улучшения функциональных результатов лечения и качества жизни очень низка [7–9].

Цель работы – провести анализ различных способов неинструментальной оценки функционального состояния (шкал, анкет, опросников), используемых в настоящее время у больных с нейромышечным сколиозом.

Стандартизированная предоперационная оценка и подготовка пациентов, включая респираторную реабилитацию и питание, являются обязательными до операции. Стратегия периоперационного ведения может уменьшить послеоперационные осложнения и улучшить исходы [10, 11]. Клиническая оценка включает исследование гипер- или гипотонии в различных мышечных группах и жесткости суставов, анализ диапазона движения бедра, позиционирование таза, которое перед измерением угла должно быть пространственно правильным [12]. Необходимо оценить способность пациента к ходьбе. Простое отличие «ходьбы» от «неходьбы» не является достаточным. Трудность заключается в оценке пациентов, автономия которых ограничена: только ходьба в помещении, иногда требующая использования вспомогательных средств (ортезов, ходовой рамы), или иногда просто перемещение с большей или меньшей степенью помощи от ходунков или другого лица [12].

Измерение результатов на основе данных пациентов является важным инструментом количественной оценки воздействия лечения деформации позвоночника на определенные заболевания и/или глобальное качество жизни [13]. У пациентов с нервно-мышечными нарушениями, такими как церебральный паралич, мышечная дистрофия и миеломенингоцеле, лечебные эффекты должны быть дифференцированы от основных функциональных нарушений.

Показатели послеоперационной оценки качества жизни (Quality of Life – QOL) все чаще используются для дополнения объективных клинических или биологических индикаторов заболевания при оценке эффективности вмешательств, включая хирургию [6]. В литературе отсутствуют показатели послеоперационной оценки качества жизни (QOL), подходящей для всех пациентов с нервно-мышечным сколиозом, нет общей анкеты, которая учитывала бы широкий спектр НМС [14].

Измерение QOL у детей с ограниченными возможностями является сложным и динамичным процессом. Наиболее часто используемым методом оценки качества жизни пациента является форма SF-36 [15].

Для исследования QOL больного при сколиозе были разработаны два протокола. Первый сформирован на основе совместного проекта SRS (Scoliosis Research Society) и

Американской академии ортопедических хирургов (American Academy of Orthopedic Surgeons) и оценивает деформацию позвоночника. Второй, разработанный Climent et al., измеряет QOL у подростков с деформациями позвоночника (как структурными, так и постуральными дугами) [16]. Эти инструменты оценивают идиопатический сколиоз в активной амбулаторной популяции и не предназначены для пациентов, которые сидят полный рабочий день в инвалидной коляске с очень слабыми верхними и нижними конечностями.

В некоторых исследованиях была предпринята попытка разработать собственную форму оценки нервно-мышечного сколиоза в соответствии с основной патологией, такой как церебральный паралич и миодистрофия Дюшенна; однако неоднородность пациентов препятствует разработке единой анкеты [13, 17, 18]. Вследствие гетерогенности этих пациентов важно группировать их в соответствии с их конкретным заболеванием [6, 19].

Существует два основных подхода к измерению состояния здоровья: общие меры, направленные на решение всех аспектов здоровья, и меры, касающиеся конкретных проявлений заболевания, тех аспектов здоровья, которые имеют отношение к конкретному состоянию [6].

Измерение QOL у пациентов с ограниченными возможностями сложно и должно учитывать такие вопросы, как: 1) надежды, амбиции и ожидания; 2) восприятие индивидов в контексте их культуры и системы ценностей, в которых они живут, и в связи с их целями, ожиданиями; 3) личные проблемы, которые они считают важными в своей жизни.

Шкалы исхода заболевания, разработанные для пациентов с нервно-мышечной патологией, включают такие параметры, как баланс сидения, питание, гигиена, ходьба, боль и внешний вид. Однако немногие из этих оценок сосредоточены на тех аспектах физической инвалидности, которые связаны с деформацией позвоночника, или шкалы специально разработаны для маленьких детей, у которых сколиоз неактуален (например, педиатрическая оценка инвалидности) [6].

Е.К. Wai et al. разработали действенный и надежный опросник – Spina Bifida Spine Questionnaire (SBSQ) – для оценки тех аспектов физической инвалидности, которые связаны со сколиозом и важны для детей со spina bifida и их семей [20]. В более поздней своей работе эти авторы использовали показатели физической функции и включили шкалы: баланса сидя (Sitting Balance Scale); двигательной функции руки Джебсена (Jebsen Hand Scale), ходьбы Хоффера (Hoffer Ambulation Scale); активности для детей (ASK) и опросник позвоночника spina bifida (SBSQ). Исследование представлений о самих себя осуществляли с помощью профиля самооценки Хартера (Harter's Self-Perception Profile) [21].

M. Sibinski et al. при проведении проспективного исследования для оценки состояния пациентов со spina bifida при коррекции деформации позвоночника использовали почти такой же набор оценочных средств: шкалу активности для детей (ASK), опросник позвоночника spina bifida (SBSQ), профиль самооценки Хартера, индекс самоопределения здоровья для детей (Health Self-Determinism Index for Children), опросник определения качества жизни (Quality of Life in Spina Bifida Questionnaire) [22].

Для оценки функционального состояния больных со spina bifida также используют балльную интегрирующую оценку нарушений жизнедеятельности и ролевых ограничений – шкалу FIM (Functional Independence Measure) [23]. Шкала функциональной независимости (FIM) состоит из 18 пунктов, отражающих состояние двигательных (пункты 1–13) и интеллектуальных (пункты 14–18) функций [24]. Она используется для оценки уровня инвалидности пациента, а также изменения статуса пациента в ответ на реабилитацию или медицинское вмешательство [24, 25].

U.G. Narayanan et al. разработали специфические для больных детским церебральным параличом (ДЦП), имеющих сколиотическую деформацию позвоночника, показатели. Эти показатели используются для оценки эффективности различных вмешательств в тяжелой популяции пациентов с ДЦП (GMFCS IV–V) и определяются как приоритеты воспитателей и индекс здоровья детей-инвалидов (the caregiver priorities and child health index of life with disabilities – CРCHILD) [26]. Разработанная анкета основана на рекомендациях лиц, обеспечивающих уход, медицинских работников, имеющих опыт ведения детей с тяжелым ДЦП, и на обзоре других анкет. Анкета состоит из 36 пунктов и имеет 6 областей: 1) личная гигиена; 2) позиционирование, передача и мобильность; 3) коммуникация и социальное взаимодействие; 4) комфорт, эмоции и поведение; 5) здоровье; 6) общее качество жизни. Она является надежной и достоверной мерой для конкретного заболевания с точки зрения лиц, осуществляющих уход, ограничений активности, состояния здоровья, благополучия и простоты ухода за детьми с тяжелым ДЦП [26].

C. Vohtz et al. использовали опросник CРCHILD для анализа состояния 50 пациентов с церебральным параличом, которые перенесли операцию по коррекции сколиоза [27]. Они отметили высокую степень удовлетворенности пациентов и лиц, осуществляющих уход за ними.

K. Watanabe et al. представили аналогичные результаты, касающиеся начального и конечного сколиоза и степени коррекции. Они опросили 84 пациента со спастическим церебральным параличом, используя собственную разработанную анкету, которая включала оценку ожиданий, косметического эффекта, функции, ухода за пациентами, качества жизни, легочной функции, боли, состояния здоровья, самооценки и удовлетворенности. Несмотря на

периоперационные трудности, наблюдаемые у пациентов с ДЦП, большинство пациентов / родителей были удовлетворены результатами коррекции деформации позвоночника. Функциональные улучшения были ограничены, но от 8% до 40% пациентов все еще считали результаты улучшенными [7].

D.G. Nordon et al. [14] сформировали адаптированную анкету для больных ДЦП с заимствованиями из метода Comstock et al. [28] и Bridwell et al. [18], которая была создана с учетом трудностей пациентов и лиц, обеспечивающих уход. Анкета содержала 54 вопроса по социально-демографическим данным, функциональным способностям, сопутствующим заболеваниям, удовлетворенности хирургическим лечением.

К.М. Gilson et al. в своем обзоре подчеркивают, что способность оценивать качество жизни детей с церебральным параличом для информирования и оценки индивидуальных планов ухода, разработки стратегии лечения имеет решающее значение. Данные авторы анализируют последние данные о качестве жизни детей с церебральным параличом с акцентом на детерминантах качества жизни и роли данного метода как показателя практического результата в клинических исследованиях [19].

Также в некоторых исследованиях была предпринята попытка разработать собственную форму оценки нервно-мышечного сколиоза при мышечной дистрофии Дюшенна (МДД). В этой анкете оценивались функция, самооценка, косметический эффект, боль, легочный статус, уход за пациентом, качество жизни и удовлетворенность лечением [18].

К.S. Suk et al. опросили 15 пациентов и применили форму MDSQ (Muscular Dystrophy Spine Questionnaire) для мышечной дистрофии Дюшенна и форму SF-36 для оценки качества жизни этих больных. Однако фактор пола в этих исследованиях не учитывался [29].

Одной из рекомендованных шкал для оценки степени ограничения активности у больных мышечной дистрофией Дюшенна является адаптированная шкала оценки моторных функций Хаммерсмит (АШХ) [30, 31]. За основу была взята модифицированная шкала Хаммерсмит, которую применяют в клинических и научных исследованиях пациентов со спинальной мышечной атрофией II и III типов [32–34]. АШХ рекомендована для применению с 5-летнего возраста. Она состоит из 20 пунктов, каждый из которых оценивается согласно степени выполнения двигательных тестов на 2, 1 или 0 баллов [35]. Представленная шкала рекомендована к применению Центром нейромышечных заболеваний им. Дубовица (Великобритания) в качестве обязательной составляющей осмотра пациентов с миодистрофией Дюшенна [30, 31].

Поскольку прогрессирование мышечной слабости – один из ключевых симптомов мышечной дистрофии Дюшенна, используют шкалы оценки силы мышц: 1)

шкала количественной оценки мышечной силы (Medical Research Council Weakness Scale – MRC); 2) шкала мануального тестирования мышц Хаммерсмит, которая предлагает определение состояния мышц по 16 пунктам [30].

Также для оценки мышечных функций мальчиков с МДД используют шкалу NSAA (The North Star Ambulatory Assessment), которая включает различные тесты на стояние, хождение, подъем с пола, подъем по лестнице, вставание со стула, стояние на одной ноге, дыхательные тесты и т.д. [36]. NSAA – это валидная одномерная функциональная шкала для амбулаторных мальчиков с МДД, она подходит для многоцентровых исследований [36, 37] и широко используется на международном уровне, в клинических условиях и в качестве вторичных критериев оценки результатов в клинических испытаниях. Недавно был разработан обновленный вариант этой шкалы для улучшения интерпретации и фиксации клинически значимых изменений [31, 38].

За последние два десятилетия была проведена большая работа по разработке анализа клинических результатов, оценки общей двигательной функции при спинальной мышечной атрофии (Spinal Muscular Atrophy – SMA) II и III типов. Первый специфический показатель SMA (Хаммерсмитская функциональная моторная шкала (HFMS)) был сформирован в 2003 году как клинический и исследовательский инструмент [39]. HFMS – это оценка физических способностей пациентов с SMA II и III типа с ограниченными возможностями передвижения. Это порядковая шкала, состоящая из 20 пунктов с индивидуальной оценкой каждого пункта [39]. HFMS была широко принята сообществом по изучению SMA, однако некоторые исследователи внесли ряд изменений для улучшения возможности измерения. В целях устранения любого мешающего эффекта усталости и влияния изменения положения был изменен порядок HFMS (MHFMS) [40, 41]. Для обеспечения возможности его использования в популяции амбулаторного III типа система HFMS была расширена и включала 13 элементов измерения общей двигательной функции (HFMSSE, MHFMS-EXTEND) [41]. Как специфический показатель исхода SMA HFMSSE широко используется на международном уровне в клинической практике, в клинических испытаниях и для документирования естественного анамнеза SMA и траекторий развития болезни [42, 43].

Несмотря на разработку специализированных анкет и опросников для каждой из нозологических форм нейромышечного сколиоза, в литературе некоторые авторы используют общие оценочные шкалы. Так, P. Obid et al. анализировали состояние больных с тяжелой нейромышечной деформацией позвоночника (преимущественно неходячие больные, 46 человек) с различными этиологическими особенностями (ДЦП, миодистрофия Дюшенна, менингомиелоцеле, спинальная мышечная атрофия, травма головного мозга,

атаксия Фридрейха) с использованием анкет на основе PEDI (Pediatric Disability Inventory) и GMFS (Gross Motor Function Score) [44].

Однако, несмотря на то, что исследование результатов на основе данных пациентов является важным инструментом количественной оценки воздействия лечения деформации позвоночника на состояние пациента, анализ литературы показывает, что степень доказательств улучшения функциональных результатов, качества жизни очень низка у больных с нейромышечным сколиозом [8, 14]. Доказательства в поддержку улучшения качества жизни и функциональных результатов у пациентов с церебральным параличом и мышечной дистрофией Дюшенна очень слабые, а у пациентов *spina bifida* они отсутствуют [8].

Заключение

Таким образом, анализ литературы, посвященной использованию шкал, анкет и опросников для оценки функционального состояния больных с нейромышечным сколиозом, свидетельствует о том, что исследование результатов на основе данных пациентов является важным инструментом количественной оценки воздействия лечения деформации позвоночника на определенные заболевания и глобальное качество жизни. Однако в настоящее время в литературе отсутствует общая анкета оценки состояния пациента и (или) качества жизни, подходящая для всех больных с нервно-мышечным сколиозом. Кроме того, степень доказательств улучшения функциональных результатов, качества жизни очень низка.

Необходим международный консенсус в отношении того, что должен включать этот предполагаемый сбор данных. Очень важно обеспечение согласованности во всех учреждениях, и это должно быть в центре будущей работы в этой области по всем результатам исследования [9]. Кроме того, в будущем было бы предпочтительно проводить каждое собеседование по телефону и/или с профессионалом, не являющимся врачом, чтобы получить более объективные ответы [14].

Список литературы

1. Halawi M.J., Lark R.K., Fitch R.D. Neuromuscular Scoliosis: Current Concepts. *Orthopedics*. 2015. vol. 38. no.6. P.e452- e456. DOI: 10.3928/01477447-20150603-50.
2. Akesen B., Atici T., Eken G., Ulusaloglu A.C. The comparison of the results after spinal fusion with or without iliac screw insertion in the treatment of neuromuscular scoliosis. *Acta Orthopa. Traumatol. Turc*. 2018. vol. 52. no.6. P. 435-437. DOI:10.1016/j.aott.2017.12.005.

3. Canavese F, Rousset M, Le Gledic B, Samba A, Dimeglio A. Surgical advances in the treatment of neuromuscular scoliosis. *World J. Orthop.* 2014. vol. 5. no. 2. P. 124–133. DOI:10.5312/wjo.v5.i2.124.
4. Allam A.M., Schwabe A.L. Neuromuscular scoliosis. *PMR.* 2013. vol. 5. no. 11. P. 957-963. DOI: 10.1016/j.pmrj.2013.05.015.
5. Belmont P.J. Jr., Kuklo T.R., Taylor K.F., Freedman B.A., Prahinski J.R., Kruse R.W. Intraspinous anomalies associated with isolated congenital hemivertebra: the role of routine magnetic resonance imaging. *J. Bone Joint Surg. Am.* 2004. vol. 86. no. 8. P.1704-1710.
6. Mercado E., Alman B., Wright J.G. Does spinal fusion influence quality of life in neuromuscular scoliosis? *Spine.* 2007. vol. 32. no. 19. P.S120-S125. DOI: 10.1097/BRS.0b013e318134eabe.
7. Watanabe K., Lenke L.G., Daubs M.D., Watanabe K., Bridwell K.H., Stobbs G., Hensley M. Is spine deformity surgery in patients with spastic cerebral palsy truly beneficial? A patient/parent evaluation. *Spine* 2009. vol. 34. no. 20. P.2222—2232. DOI: 10.1097/BRS.0b013e3181948c8f.
8. Lebel D.E., Corston J.A., McAdam L.C., Biggar W.D., Alman B.A. Glucocorticoid treatment for the prevention of scoliosis in children with Duchenne muscular dystrophy: longterm follow-up. *J Bone Joint Surg Am.* 2013. vol. 95. no. 12. P.1057-1061. DOI: 10.2106/JBJS.L.01577.
9. Toovey R., Harvey A., Johnson M., Baker L., Williams K. Outcomes after scoliosis surgery for children with cerebral palsy: A systematic review. *Developmental Medicine & Child Neurology.* 2017. DOI: 10.1111/dmnc.13412.
10. Pesenti S., Blondel B., Peltier E., Launay F., Fuentes S., Bollini G., Viehweger E., Jouve J.L. Experience in Perioperative Management of Patients Undergoing Posterior Spine Fusion for Neuromuscular Scoliosis. *Biomed Res. Int.* 2016. vol. 2016. no. 3053056. DOI: 10.1155/2016/3053056.
11. Сайфутдинов М.С., Скрипников А.А., Савин Д.М., Очирова П.В., Третьякова А.Н. Методические проблемы развития интраоперационного нейромониторинга при оперативной коррекции деформаций позвоночника (обзор литературы) // *Гений ортопедии.* 2017. Т. 23. № 1. С. 102-110. DOI 10.18019/1028-4427-2017-23-1-102-110.
12. Vialle R., Thévenin-Lemoine C., Mary P. Neuromuscular scoliosis. *Orthopaedics & Traumatology: Surgery & Research.* 2013. vol. 99. supp. 1. P. S124—S139. doi: 10.1016/j.otsr.2012.11.002.
13. Bowen R.E., Abel M.F., Arlet V., Brown D., Burton D.C., D'Ambra P., Gill L., Hoekstra D.V., Karlin L.I., Raso J., Sanders J.O., Schwab F.J. Outcome assessment in neuromuscular spinal

- deformity. *J. Pediatr. Orthop.* 2012. vol. 32. no. 8. P.792-798. DOI: 10.1097/BPO.0b013e318273ab5a.
14. Nordon D.G., Lugão A.F., Machado L.C., Marcon R.M., Cristante A.F., de Barros T.E. Filho, Letaif O.B. Correlation between the degree of correction of neuromuscular scoliosis and patient quality of life. *Clinics.* 2017. vol. 72. no. 2. P.71-80. DOI: 10.6061/clinics/2017(02)02.
15. Brazier J.E., Harper R., Jones N.M., O'Cathain A., Thomas K.J., Usherwood T., Westlake L. Validating the SF-36 health survey questionnaire: new outcome measure for primary care. *BMJ.* 1992. vol. 305. no. 6846. P.160-164. DOI: 10.1136/bmj.305.6846.160.
16. Climent J.M., Reig A., Sanchez J., Roda C. Construction and validation of a specific quality of life instrument for adolescents with spine deformities. *Spine.* 1995. vol. 20. no. 18. P.2006-2011. DOI: 10.1097/00007632-199509150-00011.
17. Askin G.N., Hallett R., Hare N., Webb J.K. The outcome of scoliosis surgery in the severely physically handicapped child. An objective and subjective assessment. *Spine.* 1997. vol. 22. no. 1. P.44-50. DOI:10.1097/00007632-199701010-00008.
18. Bridwell K.H., Baldus C., Iffrig T.M., Lenke L.G., Blanke K. Process measures and patient/parent evaluation of surgical management of spinal deformities in patients with progressive flaccid neuromuscular scoliosis (Duchenne's muscular dystrophy and spinal muscular atrophy). *Spine.* 1999. vol. 24. no. 13. P.1300-1309. DOI: 10.1097/00007632-199907010-00006.
19. Gilson K.M., Davis E., Reddihough D., Graham K., Waters E. Quality of life in children with cerebral palsy: implications for practice. *J. Child. Neurol.* 2014. vol. 29. no. 8. P.1134-1140. DOI: 10.1177/0883073814535502.
20. Wai E.K., Owen J., Fehlings D., Wright J.G. Assessing physical disability in children with spina bifida and scoliosis. *J. Pediatr. Orthop.* 2000. vol. 20. No. 6. P.765-770. DOI: 10.1097/00004694-200011000-00013.
21. Wai E.K., Young N.L., Feldman B.M., Badley E.M., Wright J.G. The relationship between function, self-perception, and spinal deformity: implications for treatment of scoliosis in children with spina bifida. *J. Pediatr. Orthop.* 2005. vol. 25. P.64-69.
22. Sibinski M., Synder M., Higgs Z.C., Kujawa J., Grzegorzewski A. Quality of life and functional disability in skeletally mature patients with myelomeningocele-related spinal deformity. *J. Pediatr. Orthop.* 2013. vol. 22. no. 2. P.106-109. DOI: 10.1097/BPV.0b013e32835c2a65.
23. Рябых С.О., Мушкин А.Ю., Савин Д.М. Вертебральный синдром при последствиях спинно-мозговых грыж: особенности клиники и лечения (практические рекомендации) // Хирургия позвоночника. 2018. Т. 15. № 4. С. 107-114. DOI: 10.14531/ss2018.4.107-114.

24. Linacre J.M., Heinemann J.W., Wright B.D., Granger C.V., Hamilton B.B. The structure and stability of the functional independence measure. *Arch. Phys. Med. Rehabil.* 1994. vol. 75. no. 2. P. 127-132.
25. Heinemann A.W., Linacre J.M., Wright B.D., Hamilton B.B., Granger C. Relationships between impairment and physical disability as measured by the functional independence measure. *Arch. Phys. Med. Rehabil.* 1993. vol. 74. no. 6. P.566-573.
26. Narayanan UG, Fehlings D, Weir S, Knights S, Kiran S., Campbell K. Initial development and validation of the Caregiver Priorities and Child Health Index of Life with Disabilities (CPCHILD). *Dev. Med. Child. Neurol.* 2006. vol. 48. no. 10. P.804-812. DOI:10.1017/S0012162206001745
27. Bohtz C., Meyer-Heim A., Min K. Changes in health-related quality of life after spinal fusion and scoliosis correction in patients with cerebral palsy. *J. Pediatr. Orthop.* 2011. vol. 31. no. 6. P.668-673. DOI: 10.1097/BPO.0b013e318221093c.
28. Comstock C.P., Leach J., Wenger D.R. Scoliosis in total-body-involvement cerebral palsy. *Spine.* 1998. vol. 23. no. 12. P.1412-1424. DOI:10.1097/00007632-199806150-00022.
29. Suk K.S., Baek J.H., Park J.O., Kim H.S., Lee H.M., Kwon J.W., Moon S.H., Lee B.H. Postoperative quality of life in patients with progressive neuromuscular scoliosis and their parents. *Spine J.* 2015. vol. 15. no. 3. P.446-453. DOI: 10.1016/j.spinee.2014.09.030.
30. Bushby K., Connor E. Clinical outcome measures for trials in Duchenne muscular dystrophy: report from International Working Group meetings. *Clin. Investig (Lond).* 2011. vol. 1. no. 9. P.1217–1235. DOI:10.4155/cli.11.113.
31. Mayhew A.G., Cano S.J., Scott E., Eagle M., Bushby K., Manzur A., Muntoni F. Detecting meaningful change using the North Star Ambulatory Assessment in Duchenne muscular dystrophy. *Dev. Med. Child. Neurology.* 2013. vol. 55. no. 11. P.1046–1052. DOI: 10.1111/dmcn.12220.
32. Montes J., Gordon A.M., Pandya S., De Vivo D.C., Kaufmann P. Clinical outcome measures in spinal muscular atrophy. *J. Child. Neurol.* 2009. vol. 24. no. 8. P. 968-978. DOI: 10.1177/0883073809332702.
33. Kissel J.T., Scott C.B., Reyna S.P., Crawford T.O., Simard L.R., Krosschell K.J., Acsadi G., Elsheik B., Schroth M.K., D'Anjou G., LaSalle B., Prior T.W., Sorenson S., Maczulski J.A., Bromberg M.B., Chan G.M., Swoboda K.J. SMA carni-VAL trial part II: a prospective, single-armed trial of L-carnitine and valproic acid in ambulatory children with spinal muscular atrophy. *PLoS One.* 2011. vol. 6. no. 7. P.e21296. DOI: 10.1371/journal.pone.0021296.
34. Swoboda K.J., Scott C.B., Crawford T.O., Simard L.R., Reyna S.P., Krosschell K.J., Acsadi G., Elsheik B., Schroth M.K., D'Anjou G., LaSalle B., Prior T.W., Sorenson S.L., Maczulski J.A., Bromberg M.B., Chan G.M., Kissel J.T. SMA Carni-VAL trial part I: doubleblind,

randomized, placebo-controlled trial of L-carnitine and valproic acid in spinal muscular atrophy. *PLoS One*. 2010. vol. 5. no. 8. P.e12140. DOI: 10.1371/journal.pone.0012140.

35. Носко А.С., Куренков А.Л., Никитин С.С., Зыков В.П. Адекватный менеджмент пациентов с дистрофинопатиями (мышечная дистрофия Дюшенна/Беккера): применение объективизирующих шкал и дополнительных методов исследования // *Нервно-мышечные болезни*. 2014. № 3. С.13-19. DOI: 10.17650/2222-8721-2014-0-3-13-19.

36. Mazzone E.S., Messina S., Vasco G., Main M., Eagle M., D'Amico A., Doglio L., Politano L., Cavallaro F., Frosini S., Bello L., Magri F., Corlatti A., Zucchini E., Brancalion B., Rossi F., Ferretti M., Motta M.G., Cecio M.R., Berardinelli A., Alfieri P., Mongini T., Pini A., Astrea G., Battini R., Comi G., Pegoraro E., Morandi L., Pane M., Angelini C., Bruno C., Villanova M., Vita G., Donati M.A., Bertini E., Mercuri E. Reliability of the North Star Ambulatory Assessment in a multicentric setting. *Neuromuscul Disord*. 2009. vol. 19. no. 7. P. 458–461. DOI: 10.1016/j.nmd.2009.06.368.

37. Mazzone E., Martinelli D., Berardinelli A., Messina S., D'Amico A., Vasco G., Main M., Doglio L., Politano L., Cavallaro F., Frosini S., Bello L., Carlesi A., Bonetti A.M., Zucchini E., De Sanctis R., Scutifero M., Bianco F., Rossi F., Motta M.C., Sacco A., Donati M.A., Mongini T., Pini A., Battini R., Pegoraro E., Pane M., Pasquini E., Bruno C., Vita G., de Waure C., Bertini E., Mercuri E. North Star Ambulatory Assessment, 6-minute walk test and timed items in ambulant boys with Duchenne muscular dystrophy. *Neuromuscul Disord*. 2010. vol. 20. no. 11. P.712-716. DOI: 10.1016/j.nmd.2010.06.014.

38. Mercuri E., Coratti G., Messina S., Ricotti V., Baranello G., D'Amico A. Revised NorthStar Ambulatory Assessment for Young Boys with Duchenne Muscular Dystrophy. *PLoS ONE*.2016. vol. 11. no. 8. P.e0160195. DOI:10.1371/journal.pone.0160195.

39. Main M., Kairon H., Mercuri E., Muntoni F. The Hammersmith Functional Motor Scale for Children with Spinal Muscular Atrophy: a Scale to Test Ability and Monitor Progress in Children with Limited Ambulation. *European Journal of Paediatric Neurology*. 2003. vol. 7. no. 4. P. 155-159.

40. Krosschell K.J., Maczulski J.A., Crawford T.O., Scott C., Swoboda K.J. A modified Hammersmith functional motor scale for use in multi-center research on spinal muscular atrophy. *Neuromuscular Disorders*. 2006. vol. 16. no. 7. P. 417-426. DOI: 10.1016/j.nmd.2006.03.015

41. Krosschell K.J., Scott C.B., Maczulski J.A., Lewelt A.J., Reyna S.P., Swoboda K.J. Reliability of the Modified Hammersmith Functional Motor Scale in young children with spinal muscular atrophy. *Muscle & nerve*. 2011. vol. 44. no. 2. P.246-251. DOI: 10.1002/mus.22040.

42. Mazzone E., De Sanctis R., Fanelli L., Bianco F., Main M., van den Hauwe M., Ash M., de Vries R., Fagoaga Mata J., Schaefer K., D'Amico A., Colia G., Palermo C., Scoto M., Mayhew A.,

Eagle M., Servais L., Vigo M., Febrer A., Korinthenberg R., Jeukens M., de Viesser M., Totoescu A., Voit T., Bushby K., Muntoni F., Goemans N., Bertini E., Pane M., Mercuri E. Hammersmith Functional Motor Scale and Motor Function Measure-20 in non ambulant SMA patients. *Neuromuscular disorders: NMD*. 2014. vol. 24. no. 4. P. 347-352. DOI: 10.1016/j.nmd.2014.01.003

43. Mazzone E., Montes J., Main M., Mayhew A., Ramsey D., Glanzman A.M., Dunaway S., Salazar R., Pasternak A., Quigley J., Pane M., Pera M.C., Scoto M., Messina S., Sframeli M., D'amico A., Van Den Hauwe M., Sivo S., Goemans N., Darras B.T., Kaufmann P., Bertini E., De Vivo D.C., Muntoni F., Finkel R., Mercuri E. Old measures and new scores in spinal muscular atrophy patients. *Muscle & nerve*. 2015. vol. 52 no. 3. P.435-437. DOI: 10.1002/mus.24748.

44. Obid P., Bevot A., Goll A., Leichtle C. Wulker N., Niemeyer T. Quality of life after surgery for neuromuscular scoliosis. *Orthop. Rev.* 2013. vol. 5. no. 1. P.e1. DOI: 10.4081/or.2013.e1.