

【Remudyニュースレター第3号】前向きコホート研究結果のレポート紹介

配信日：2011年10月19日

Remudyで紹介するニュース（医療者向け）

イタリア・ローマからのDMDの患者106人の前向きコホート研究の結果がレポートされました。アブストラクトを簡単にまとめましたので、ご覧ください。（木村円）

***Functional changes in Duchenne muscular dystrophy:
a 12-month longitudinal cohort study.***

Neurology. 2011 Jul 19;77(3):250-6. Epub 2011 Jul 6.

Mazzone E et al. Catholic University, Rome.

Catholic University（ローマ）からの他施設共同研究。

106例の歩行可能なDMD患者の12ヶ月の前向きコホート研究。

結果、6分間歩行は平均25.8±74.3 m (SD) 減少し、North Star Ambulatory Assessment (NSAA)では2.2±3.7 (SD)減少した。

また7歳までは6分間歩行もNSAA scoreも改善した。

6分間歩行とNSAAスコアには強い相関が見られた。

今回の研究の結果はクリニカルトライアルに重要な情報を提供している。

Neurology. 2011 Jul 19;77(3):250-6. Epub 2011 Jul 6.

Functional changes in Duchenne muscular dystrophy: a 12-month longitudinal cohort study.

Mazzone E, Vasco G, Sormani MP, Torrente Y, Berardinelli A, Messina S, D'Amico A, Doglio L, Politano L, Cavallaro F, Frosini S, Bello L, Bonfiglio S, Zucchini E, De Sanctis R, Scutifero M, Bianco F, Rossi F, Motta MC, Sacco A, Donati MA, Mongini T, Pini A, Battini R, Pegoraro E, Pane M, Gasperini S, Previtali S, Napolitano S, Martinelli D, Bruno C, Vita G, Comi G, Bertini E, Mercuri E.

Source

Department of Paediatric Neurology, Catholic University, Rome.

Abstract

OBJECTIVE:

The aim of the study was to assess different outcome measures in a cohort of ambulant boys with Duchenne muscular dystrophy (DMD) over 12 months in order to establish the spectrum of possible changes in relation to age and steroid treatment.

METHODS:

The study is a longitudinal multicentric cohort study. A total of 106 ambulant patients with DMD were assessed using the 6-minute walk test (6MWT) and North Star Ambulatory Assessment (NSAA) at baseline and 12 months. Clinical data including age and steroid treatment were collected.

RESULTS:

During the 12 months of the study, we observed a mean decline of 25.8 meters in the 6MWT with a SD of 74.3 meters. On NSAA, the mean decline was 2.2 points with a SD of 3.7. Not all the boys with DMD in our cohort showed a decline over the 12 months, with young boys showing some improvement in their 6MWT and NSAA scores up to the age of 7. NSAA and the 6MWT had the highest correlation ($r = 0.52$, $p < 0.001$).

CONCLUSIONS:

This study provides longitudinal data of NSAA and 6MWT over a 12-month period. These data can be useful when designing a clinical trial.

PMID: 21734183 [PubMed - indexed for MEDLINE]