Valdecir Antonio Simon

Qualidade de vida em crianças e adolescentes com doenças neuromusculares e validação de dois questionários para o português: *Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A* e *Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module – PedsQL DMD*

São Paulo

2016

Valdecir Antonio Simon

Qualidade de vida em crianças e adolescentes com doenças neuromusculares e validação de dois questionários para o português: *Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A* e *Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module – PedsQL DMD*

Tese apresentada à Faculdade de Medicina
da Universidade de São Paulo para obtenção
do título Doutor em Ciências
Programa de Neurologia
Orientadora: Prof^a. Dr^a. Umbertina Conti
Reed.

Versão corrigida, a versão original se encontra disponível na FMUSP

São Paulo

2016

Dados Internacionais de Catalogação na Publicação (CIP)

Preparada pela Biblioteca da
Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo

©reprodução autorizada pelo

Simon, Valdecir Antonio

Qualidade de vida em crianças e adolescentes com doenças neuromusculares e validação de dois questionários para o português : *Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A e Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module – PedsQL DMD* / Valdecir Antonio Simon. -- São Paulo, 2016.

Tese(doutorado)--Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo.

Programa de Neurologia.

Orientadora: Umbertina Conti Reed.

Descritores: 1.Qualidade de vida 2.Doenças neuromusculares 3.Distrofia muscular de Duchenne 4.Atrofias musculares espinais da infância 5.Distrofia muscular do cingulo dos membros 6.Inquéritos e questionários 7.Estudos de validação

USP/FM/DBD-143/16

DEDICATÓRIA

Àqueles que sempre estiveram presentes em minha vida,

Incentivando-me, compreendendo-me, apoiando-me. Minha família.

Ao ser humano, que incansavelmente busca a verdade.

A comunidade científica, como contribuição à construção do saber universal.

AGRADECIMENTOS

A Margarete, meus filhos Gustavo e Bernardo pela sabedoria, colaboração e compreensão.

Aos meus pais, Rosa e Alfonso (in memoriam), pelo milagre da vida.

À Dr^a Umbertina Conti Reed, pela orientação, exemplo de humanidade e inspiração.

Ao Dr. Edmar pela prestatividade e disponibilização de dados.

Á Dr^a Bernadete pela colaboração e disponibilização de dados.

Ao Dr. Ted pela autorização para validação e aplicação do Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A e a Varni pelo Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module – PedsQL DMD.

Aos pacientes e seus pais pela disposição em colaborar.

A Escola Municipal Prof. João Pinheiro, pela prestatividade.

Aos pais e crianças vinculadas a EMEF João Pinheiro.

Aos tradutores pelo bom desempenho.

A Dr^a Tatiana Freire, Dr^a Mariana Granato, Pedagogas Fernanda Souza e Márcia R. Duarte pela colaboração.

Aos cientistas que engrandecem o conhecimento do ser humano.

A todos que direta ou indiretamente contribuíram na concretização deste material.

*“O que nos torna imediatamente felizes é a alegria do pensamento,
pois essa boa qualidade se recompensa logo, por si mesma”.*

Arthur Schopenhauer

Esta tese está de acordo com as seguintes normas em vigor no momento desta publicação:

Referências: adaptado de *International Committee of Medical Journals Editors* (Vancouver)

Universidade de São Paulo. Faculdade de Medicina. Divisão de Biblioteca e Documento. Guia de apresentação de dissertações, teses e monografias. Elaborado por Annelise Carneiro da Cunha, Maria Júlia de A. L. Freddi, Maria F. Crestana, Mirinalva de Souza Aragão, Suely Campos Cardoso, Valéria Vilhena. 3ª ed. São Paulo. Divisão de Biblioteca e Documentação: 2011.

Abreviaturas dos títulos dos periódicos de acordo com *List of Journals Indexed in Index Medicus*.

LISTA DE ABREVIATURAS

LISTA DE TABELAS

LISTA DE FIGURAS

RESUMO

ABSTRACT

1. INTRODUÇÃO	27
2 PRINCIPAIS ASPECTOS DA LITERATURA	30
2.1 Distrofia muscular de Duchenne	30
2.2 Distrofia de Cinturas dos Membros (Síndrome de Cinturas)	33
2.3 Amiotrofia espinhal progressiva.....	35
2.4 Qualidade de vida Relacionada à Saúde (QVRS) e DNM	38
2.5 Questionários utilizados para avaliar a qualidade de vida relacionada à saúde	40
2.6 Questionários de QVRS utilizados nesse estudo.....	42
2.6.1 Life Satisfaction Index for Adolescents - LSI-A	42
2.6.2 Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne - PedsQL Duchenne	44
2.6.3 Pediatric Quality of Life Inventory Generic – PedsQL NM	45
2.6.4 Qualidade de Vida Familiar – FQoL	46
2.6.5 WHOQOL-Bref aplicado aos pais ou cuidador	46
3. JUSTIFICATIVA	48
4. OBJETIVOS	49
5. MATERIAIS E MÉTODO	50
5.1 Casuística.....	50
5.1.1 Validação e aplicação do LSI-A	53
5.1.2 Validação e aplicação do instrumento PedsQL Duchenne	55
5.1.3 Aplicação do instrumento PedsQL NM	56
5.1.4 Aplicação dos instrumentos FQoL e WHOQOL-Bref.....	57
5.1.5 Critérios de exclusão.....	58

5.1.6 Validação e suas etapas	58
5.1.7 Aplicação do instrumento LSI-A, PedsQL DMD, PedsQL NM, FQoL e WHOQOL: distribuição da amostra Caso e Controle	63
5.1.8 Cálculo da Amostra para aplicação do LSI-A e o PedsQL Duchenne	68
5.1.9 Procedimento de aplicação dos questionários	68
5.2 Análise estatística dos dados da validação e da aplicação dos questionários.....	69
5.2.1 Validação	69
5.2.2 Aplicação.....	71
6. RESULTADOS	72
6.1 Características das Amostras.....	72
6.1.1 Idade	72
6.1.2 Condição Física	73
6.1.3 Diagnóstico	73
6.1.4 Fisioterapia e Terapia Ocupacional	74
6.2 Validação LSI-A e PedsQL DMD	75
6.2.1 Probe – teste de compreensão	75
6.2.2 Pré-teste em dois momentos	77
6.2.2.1 Confiabilidade, Validade e Reprodutibilidade	77
6.2.2.2 Consistência interna ou confiabilidade dos itens	79
6.2.2.3 Consistência externa ou confiabilidade interobservador	80
6.2.2.4 Quanto à consistência externa ou reprodutibilidade.....	94
6.2.2.5 Quanto à sensibilidade e à especificidade	97
6.3 Aplicação dos instrumentos LSI-A, PedsQL DMD e PedsQL NM	111
6.3.1 Aplicação do instrumento LSI-A aos grupos A, B, C e D das Amostras Caso de DNMs (DMD, AEP II e III, DMC)	109
6.3.1.1 Médias: LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III dos grupos A, B, C e D.....	111
6.3.1.2 Significância dos escores do LSI-A versão pais na Amostra Caso de DMD do Grupo A.....	113
6.3.1.3 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo B.....	114

6.3.1.4 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do grupo C.....	114
6.3.1.5 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do grupo D.....	115
6.3.1.6 Médias: LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III dos grupos A, B, C e D.....	116
6.3.1.7 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo A	118
6.3.1.8 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B	119
6.3.1.9 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C	119
6.3.1.10 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo D	120
6.3.1.11 Médias: LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III dos grupos A, B, C e D.....	121
6.3.1.12 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo A.....	123
6.3.1.13 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo B.....	123
6.3.1.14 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo C.....	124
6.3.1.15 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo D.....	125
6.3.1.16 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de DMD, AEP II e III e DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do LSI-A versão pais e paciente.....	126
6.3.1.17 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso de DMD, AEP II e III e DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do LSI-A versão pais e paciente.....	130
6.3.2 Aplicação do instrumento PedsQL DMD aos grupos A, B e C das Amostras Caso de DMD	131
6.3.2.1 Médias, mediana, máxima e mínima dos escores do PedsQL DMD versão pais – Grupo A	131
6.3.2.2 Significância dos escores do PedsQL DMD versão pais – Grupo A.....	131
6.3.2.3 Médias, mediana, máxima e mínima dos escores do PedsQL DMD versão pais e versão paciente – Grupo B.....	132
6.3.2.4 Significância do PedsQL DMD versão pais – Grupo B.....	134
6.3.2.5 Significância do PedsQL DMD versão paciente – Grupo B	134
6.3.2.6 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente – Grupo B	135

6.3.2.7 Média, mediana, máxima e mínima dos escores do PedsQL DMD versão pais e versão paciente – Grupo C.....	136
6.3.2.8 Significância do PedsQL DMD versão pais – Grupo C	138
6.3.2.9 Significância dos escores do PedsQL DMD versão paciente – Grupo C.....	138
6.3.2.10 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente – Grupo C	139
6.3.2.11 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de DMD e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL DMD versão pais e paciente.....	140
6.3.2.12 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso de DMD e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL DMD versão pais e paciente.....	141
6.3.3 Aplicação do instrumento PedsQL NM às Amostras Caso de AEP, tipos II e III, e DMC dos grupos A, B e C	142
6.3.3.1 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais - AEP tipo II e III- Grupo A....	143
6.3.3.2 Significância dos escores do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo A.....	143
6.3.3.3 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais - AEP tipo II e III- Grupo B....	144
6.3.3.4 Significância do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo B.....	145
6.3.3.5 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente AEP tipo II e III Grupo B	146
6.3.3.6 Significância dos escores do PedsQL NM versão paciente à AEP II e III– Grupo B.....	147
6.3.3.7 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – AEP do Grupo B.....	147
6.3.3.8 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais - AEP tipo II e III- Grupo C...	149
6.3.3.9 Significância do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo C.....	149
6.3.3.10 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente - AEP tipo II e III- Grupo C	150
6.3.3.11 Significância do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo C.....	151
6.3.3.12 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – AEP tipo II e III do Grupo C	151
6.3.3.13 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de AEP tipo II e III e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente.....	152
6.3.3.14 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso de AEP II e III e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente.....	153
6.3.3.15 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais – DMC - Grupo A.....	154
6.3.3.16 Significância do PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo A	155
6.3.3.17 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais – DMC - Grupo B.....	156

6.3.3.18	Significância do PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo B	157
6.3.3.19	Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo B.....	157
6.3.3.20	Significância do PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo B	158
6.3.3.21	Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – DMC do Grupo B	159
6.3.3.22	Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo C.....	160
6.3.3.23	Significância do PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo C	160
6.3.3.24	Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo C.....	161
6.3.3.25	Significância do PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo C	162
6.3.3.26	Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – DMC do Grupo C	162
6.3.3.27	Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de DMD e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL DMD versão pais e paciente.....	163
6.3.3.28	Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente.....	164
6.4	Aplicação dos questionários FQoL e WHOQOL-Bref	165
6.4.1	Aplicação do instrumento FQoL aos pais das Amostras com DMD, AEP II e III e DMC.....	165
6.4.2	Aplicação do instrumento WHOQOL-Bref aos pais/cuidadores das Amostras com DMD, AEP e DMC.....	167
7	DISCUSSÃO	169
7.1	Validação	169
7.2	Aplicação.....	174
8	LIMITAÇÕES.....	184
9	CONCLUSÕES.....	185
10	REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS.....	186

LISTA DE ABREVIATURAS

CPK – Creatina Fosfoquinase

EMEF – Escola Municipal de Ensino Fundamental

HC-FMUSP - Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo

QV – Qualidade de Vida

QVRS – Qualidade de Vida Relacionada à Saúde

TCLE – Termo de Consentimento Livre e Esclarecido

TDE – Teste de Desempenho Escolar

LSI-A - (*Life Satisfaction Index for Adolescents* – LSI-A) Qualidade de Vida dirigida às Crianças e Adolescentes

PedsQL DMD – (*Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module*) Qualidade de Vida Pediátrica módulo de Distrofia Muscular Duchenne.

PedsQL NMM – (*Pediatric Quality of Life Inventory Neuromuscular Module*) Qualidade de Vida pediátrica em módulo Neuromuscular

FQoL – Qualidade de Vida Familiar

LISTA DE TABELAS

Tabela 1. Média de idade das amostras de pacientes com DMD, AEP e DMC.....	72
Tabela 2. Utilização ou não da cadeira de rodas pelo pacientes das amostras de DMD, AEP e DMC.	73
Tabela 3. Características das amostras de pacientes com DMD, AEP e DMC quanto à idade em anos por ocasião do diagnóstico.	73
Tabela 4. Duração em anos de tratamento multiprofissional de reabilitação (Fisioterapia e Terapia Ocupacional) a que foram submetidos os pacientes das amostras com DMD, AEP e DMC.	74
Tabela 5. Quantidade de sessões semanais de Fisioterapia e Terapia Ocupacional pelas Amostras DMD, AEP e DMC.	74
Tabela 6. Percentagens de compreensão do questionário LSI-A versão paciente, resultantes da aplicação da técnica Probe I II e III.	76
Tabela 7. Percentagens de compreensão do questionário PedsQL DMD, resultantes da aplicação da técnica Probe I, II e III.	76
Tabela 8. Descrição quantitativa das variáveis dos domínios do LSI-A coletadas por intra e interobservadores nas Amostras Caso de DMN (DMD, AEP, DMC).	78
Tabela 9. Descrição quantitativa das variáveis do PedsQL Duchenne coletadas por intra e interobservador nas Amostras Caso de DMD.....	78
Tabela 10. Coeficiente de confiabilidade mediante utilização do teste Alfa de Cronbach ao questionário LSI-A versão pais e versão pacientes.	79
Tabela 11. Coeficiente de confiabilidade mediante utilização do teste Alfa de Cronbach ao questionário PedsQL DMD versão pais e versão pacientes.....	80
Tabela 12. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário LSI-A aplicado a pais e interobservador.	81
Tabela 13. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário LSI-A aplicado a pais por interobservador.	82
Tabela 14. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário LSI-A aplicado aos pacientes das Amostras de DNM por interobservador.	84
Tabela 15. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário LSI-A aplicado a 32 pacientes das amostras de DNM por interobservador.	85
Tabela 16. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário PedsQL Duchenne, aplicação por interobservador à Amostra Pais.	88
Tabela 17. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário PedsQL Duchenne, aplicação por interobservador à Amostra Pais.	89
Tabela 18. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário PedsQL DMD, aplicação interobservador à Amostra Caso de DMD.	91
Tabela 19. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário PedsQL Duchenne, aplicação interobservador à Amostra Caso de DMD.	92

Tabela 20. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário LSI-A versão pais (n=05) avaliadas em duas vezes distintas.....	94
Tabela 21. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário LSI-A versão paciente (n=10) avaliadas em duas vezes distintas.	95
Tabela 22. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário PedsQL DMD versão pais e paciente avaliadas em duas vezes distintas.	96
Tabela 23. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário PedsQL DMD versão paciente (n=10) avaliadas em duas vezes distintas.....	97
Tabela 24. Aplicação do teste ROC aos resultados do escore geral e dos domínios do questionário LSI-A versão pais.	98
Tabela 25. Teste ROC aos resultados do escore geral e dos domínios do questionário LSI-A, versão pacientes.	102
Tabela 26. Teste ROC aplicado ao domínio <i>Atividades Diárias, Tratamento, Preocupação e Comunicação</i> do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.	105
Tabela 27. Resultado do teste ROC aplicado aos domínios <i>Atividades Diárias, Tratamento, Preocupação e Comunicação</i> do questionário PedsQL DMD versão pacientes.	108
Tabela 28. Médias aritméticas descritiva de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e paciente com DMD do Grupo A (n=8), B (n=12), C (n=9) e D (n=14) e Controle.	112
Tabela 29. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão pais na Amostra Caso de DMD do Grupo A (n=8) e Controle.....	113
Tabela 30. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo B (n=12) e Controle.	114
Tabela 31. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo C (n=9) e Controle.	115
Tabela 32. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo D (n=14) e Controle.	115
Tabela 33. Médias aritméticas descritiva de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e paciente com AEP tipo II e III do Grupo A (n=5), B (n=5), C (n=7) e D (n=4) e Controle.	117
Tabela 34. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão pais na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo A (n=05) e Controle.	118
Tabela 35. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B (n=05) e Controle.	119
Tabela 36. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C (n=07) e Controle.....	120
Tabela 37. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo D (n=04) e Controle.....	121
Tabela 38. Médias aritméticas descritiva de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e paciente com DMC dos grupos A (n=6), B (n=4), C (n=4) e D (n=4) e Controle.	122
Tabela 39. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão pais na Amostra Caso de DMC do Grupo A (n=06) e Controle.	123

Tabela 40. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo A (n=04) e Controle.	124
Tabela 41. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo C (n=04) e Controle.	125
Tabela 42. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo D (n=04) e Controle.	126
Tabela 43. Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de DMD, AEP e DMC dos grupos A B, C e D (n=82) e controles mediante aplicação do LSI-A versão pais e versão pais	127
Tabela 44. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) e Controle.	130
Tabela 45. Estatística descritiva dos escores obtidos nos domínios Atividades Diárias, Dificuldade no Tratamento, Preocupação e Comunicação na aplicação do questionário PedsQL DMD aos cuidadores da Amostra Caso de DMD do Grupo A e Amostra Controle.	131
Tabela 46. Teste Mann Whitney para analisar a significância da diferença dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD aos pais da Amostra Caso de DMD do Grupo A e Amostra Controle.	132
Tabela 47. Estatística descritiva do escore geral da Amostra Caso de DMD do Grupo B e da Amostra Controle obtido na aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente.	133
Tabela 48. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD à Amostra Pais da Amostra Caso de DMD do Grupo B e pais da Amostra Controle.	134
Tabela 49. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD aos pacientes da Amostra de DMD do Grupo B e Controle.	135
Tabela 50. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso do Grupo B, mediante aplicação do questionário PedsQL DMD.	135
Tabela 51. Estatística descritiva do escore geral obtido na aplicação do questionário PedsQL DMD aos cuidadores/ um dos pais da Amostra Caso de DMD do Grupo C e Controle.	137
Tabela 52. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD versão pais, a um dos pais de pacientes da Amostra de DMD do Grupo C e Controle.	138
Tabela 53. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD versão pacientes, aplicado aos pacientes da Amostra de DMD do Grupo C e Controle.	139
Tabela 54. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso do Grupo C, mediante aplicação do questionário PedsQL DMD.	140
Tabela 55. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com DMD e Controle.	142

Tabela 56. Estatística Descritiva dos escores do questionário PedsQL NM versão pais e paciente da Amostra Caso do Grupo A (n=5) e da Amostra Controle.	143
Tabela 57. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM aplicado aos pais da Amostra Caso com DMC do Grupo A e da Amostra Controle.	144
Tabela 58. Estatística Descritiva dos escores do questionário PedsQL NM versão pais da Amostra Caso de AEP do grupo B (n=5) e da Amostra Controle.	145
Tabela 59. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso com AEP II e III do Grupo B e da Amostra Controle.	146
Tabela 60. Estatística Descritiva do escore do questionário PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de AEP II e III do grupo B e da Amostra Controle.	146
Tabela 61. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso do Grupo B e da Controle.	147
Tabela 62. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso de AEP II e III do Grupo B, mediante aplicação do questionário PedsQL NM.	148
Tabela 63. Estatística Descritiva dos dados do questionário PedsQL DNM versão pais da Amostra Caso de AEP II e III do grupo C e da Amostra Controle.	149
Tabela 64. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso com AEP do Grupo C e da Amostra Controle.	150
Tabela 65. Estatística Descritiva do escore geral do questionário PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de AEP II e III do grupo C (n=7) e Amostra Controle.	150
Tabela 66: Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM aplicado aos pacientes do Grupo C e controles.	151
Tabela 67. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso de AEP II e III do Grupo C, mediante aplicação do questionário PedsQL NM.	152
Tabela 68: Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com AEP e Controle.	154
Tabela 69. Estatística descritiva dos escores do PedsQL versão pais da Amostra Caso de DMC do Grupo A da Amostra Controle	155
Tabela 70. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais aplicado aos pais da Amostra Caso com DMC do Grupo A e aos pais da Amostra Controle...	155
Tabela 71. Estatística descritiva dos escores do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso de DMC do Grupo B e aos pais da Amostra Controle.	156
Tabela 72. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais aplicado aos pais de pacientes com DMC do Grupo B e pais da Amostra Controle.	157
Tabela 73. Estatística descritiva da QVRS mediante aplicação do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo B e da Amostra Controle.	158
Tabela 74. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente aplicado aos pacientes com DMC do Grupo B e controles.	158
Tabela 75. Variância entre pais e Amostra Caso mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo B.	159

Tabela 76. Estatística descritiva da QVRS mediante aplicação do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso de DMC do Grupo C e da Amostra Controle.	160
Tabela 77. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo C e da Controle.	161
Tabela 78. Estatística descritiva da QVRS mediante aplicação do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo C e da Amostra Controle.	161
Tabela 79. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente da Amostras Caso de DMC do Grupo C e da Controle.	162
Tabela 80. Variância entre pais da Amostra Caso e Amostra Caso, mediante aplicação do questionário PedsQL NM do Grupo C de pacientes com DMC.	163
Tabela 81. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com DMD e Controle.	165
Tabela 82. Média dos escores no diferentes domínios do FQoL aplicado aos pais das Amostras do Grupo A (5 a 7 anos de idade).	166
Tabela 83. Escores médios da aplicação do questionário WHOQoL aos pais das Amostras com DMD, AEP ou DMC dos Grupos A, B, C e D.	168

LISTA DE GRÁFICOS

Gráfico 1. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no escore geral aplicado aos 22 pais por interobservador.	81
Gráfico 2. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Bem Estar Geral aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.	82
Gráfico 3. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Relacionamento Interpessoal aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por intraobservador.....	82
Gráfico 4. Teste Pearson na avaliação da confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Desenvolvimento pessoal aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.....	83
Gráfico 5. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Realização Pessoal aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.	83
Gráfico 6. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Lazer e Recreação aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.	83
Gráfico 7. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no escore geral aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.	85
Gráfico 8. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Bem Estar Geral aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.	86
Gráfico 9. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Relacionamento Interpessoal aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.	86
Gráfico 10. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Desenvolvimento Pessoal aplicado a 32 pacientes das Amostras com DNM por interobservador.....	86
Gráfico 11. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Realização Pessoal aplicado a 32 pacientes das Amostras com DNM por interobservador.....	87
Gráfico 12. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Lazer e Recreação aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.	87
Gráfico 13. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do escore geral do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.	88
Gráfico 14. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Atividades Diárias</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.	89
Gráfico 15. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Tratamento</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.....	89
Gráfico 16. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Preocupação</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.....	90

Gráfico 17. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Comunicação</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.....	90
Gráfico 18. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do escore geral do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.....	91
Gráfico 19. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Atividade Diária</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.	92
Gráfico 20. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Tratamento</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.....	92
Gráfico 21. Teste Pearson na avaliação da confiabilidade do domínio <i>Preocupação</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.	93
Gráfico 22. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio <i>Comunicação</i> do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.	93
Gráfico 23. Representação da Curva de ROC do escore Geral do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.....	99
Gráfico 24. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Bem Estar Geral do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.	99
Gráfico 25. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Relacionamento Interpessoal do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.	99
Gráfico 26. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Desenvolvimento Pessoal do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.	100
Gráfico 27. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Realização Pessoal do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.	100
Gráfico 28. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Lazer e Recreação do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.	100
Gráfico 29. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Bem Estar Geral do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.	102
Gráfico 30. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Relacionamento Interpessoal do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.....	103
Gráfico 31. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Desenvolvimento Pessoal do questionário LSI-A, aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.....	103
Gráfico 32. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Realização Pessoal do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.	103
Gráfico 33. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio Lazer e Recreação do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.	104
Gráfico 34. Representação da Curva de ROC do Escore Geral do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.	106
Gráfico 35. Representação da Curva de ROC do domínio Atividades Diárias do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.	106

Gráfico 36. Representação da Curva de ROC do domínio Tratamento do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.	106
Gráfico 37. Representação da Curva de ROC do domínio Preocupação do questionário PedsQL versão pais (n=35) e Controle.	107
Gráfico 38. Representação da Curva de ROC do domínio Comunicação do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) da Amostra Controle.	107
Gráfico 39. Representação da Curva de ROC do Escore Geral do questionário PedsQL DMD versão paciente (n=35) e Controle.	109
Gráfico 40. Representação da Curva de ROC do domínio Atividades Diárias do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.	109
Gráfico 41. Representação da Curva de ROC do domínio Tratamento do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.	109
Gráfico 42. Representação da Curva de ROC do domínio Preocupação do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.	110
Gráfico 43. Representação da Curva de ROC do domínio Comunicação do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.	110
Gráfico 44. Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão pais aplicada a um dos pais dos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo A e Controle.	128
Gráfico 45. Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo B e Controle.	128
Gráfico 46. Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo C e Controle.	129
Gráfico 47. Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo D e Controle.	129
Gráfico 48. Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de DMD dos grupos A B e C e controles mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e versão paciente.	141
Gráfico 49. Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de AEP dos grupos A B e C e controles mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e versão paciente.	153
Gráfico 50. Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de DMC dos grupos A B e C e controles mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e versão paciente.	164
Gráfico 51. Média Geral dos escores do FQoL das Amostras Casos de DMD, AEP e DMC.....	167
Gráfico 52. Média Geral dos escores do WHOQOL das Amostras Casos de DMD, AEP e DMC.....	168

LISTA DE FIGURAS

Figura 1. Esquematização da divisão da amostra de pacientes com DMD e Controle para aplicação do questionário LSI-A versão paciente.	63
Figura 2. Esquematização da divisão da amostra de pacientes com AEP tipos II e III e Controle para aplicação do questionário LSI-A versão paciente.	64
Figura 3. Esquematização da divisão da amostra de pacientes com DMC e Controle para aplicação do questionário LSI-A versão paciente.	65
Figura 4. Esquematização da divisão da amostra de paciente com DMD e amostra Controles para aplicação do questionário PesdsQL versão pais.	65
Figura 5. Esquematização da divisão da amostra paciente com DMD e amostra Controles para aplicação do questionário PesdsQL versão paciente.	66
Figura 6. Esquematização da divisão das famílias da amostra de paciente com DNM e amostra Controles para aplicação do questionário PedsQL NM.	66
Figura 7. Esquematização da divisão das famílias da amostra de paciente com DMC e amostra Controles para aplicação do questionário DNM.	67
Figura 8. Esquematização da divisão das famílias da amostra de paciente com DNM e amostra Controles para aplicação do questionário FQoL.	67

Simon VA. *Qualidade de vida em crianças e adolescentes com doenças neuromusculares e validação de dois questionários para o português: Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A e Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module – PedsQL DMD* [Tese]. São Paulo: Faculdade de Medicina, Universidade de São Paulo; 2016.

INTRODUÇÃO: As distrofias musculares progressivas e a amiotrofia espinhal progressiva (AEP) são doenças neuromusculares (DNM) caracterizadas pela degeneração irreversível das fibras musculares, a qual leva à fraqueza muscular e à incapacidade motora. Qualidade de Vida Relacionada à Saúde (QVRS) inclui subjetividade, multidimensionalidade, aspectos negativos e positivos diante da percepção e da expectativa individual de vida; sofre influência cultural. **JUSTIFICATIVA:** A avaliação da QVRS é essencial para definir a resposta ao tratamento multidisciplinar ou efetivo do paciente com DNM e para sinalizar medidas destinadas a incrementar o sucesso terapêutico. **OBJETIVOS:** Validar os questionários *Life Satisfaction Index for Adolescents* (LSI-A) versão pais e versão paciente e *Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne* (PedsQL DMD) versão pais e versão paciente para o português; avaliar a QVRS dos pacientes com distrofia muscular de Duchenne (DMD), amiotrofia espinhal progressiva (AEP) ou distrofia muscular de cinturas (DMC); avaliar a QV familiar e da mãe/cuidadora. **METODOLOGIA:** Os questionários LSI-A e PedsQL DMD foram validados obedecendo às etapas de adaptação cultural e validação. Após validação, o questionário LSI-A foi aplicado a pacientes com DMD, AEP ou DMC; o PedsQL Duchenne foi aplicado aos pacientes com DMD e o PedsQL NM a pacientes com AEP ou DMC. Os pais dos pacientes responderam ao FQoL e as mães/cuidadoras ao WHOQOL-Bref. Para cálculo estatístico utilizaram-se: testes α de Cronbach, CIC, Pearson, Curva ROC para a validação, e Mann Whitney, Friedman e Dunn para a aplicação. **RESULTADOS:** Quanto à validação: Probe final do LSI-A versão pais, 97% e versão paciente, 95%; PedsQL DMD versão pais, 99% e versão paciente, 97%, sinalizando compreensão excelente; o teste α de Cronbach no LSI-A versão pais e paciente, respectivamente, obteve escore geral 0.87 e 0.89; no PedsQL versão pais e versão paciente, respectivamente, escore geral 0.87 e 0.84. Em ambos foi evidenciado alta confiabilidade dos itens. Quanto à aplicação do LSI-A versão pais e pacientes para avaliação da QVRS, quando comparada aos controles, houve maior número de domínios significantes em pacientes com DMD, AEP ou DMC, nesta ordem. A QVRS mediante aplicação do questionário PedsQL módulo DMD e NM obedeceu a esta mesma sequência. **CONCLUSÕES:** Conforme os dados psicométricos, os questionários são válidos para serem aplicados a pacientes com DNM e respectivos pais, como segue: LSI-A versão pais e versão paciente a pacientes com DMD, AEP e DMC e respectivos pais, e PedsQL 3.0 Duchenne versão pais e paciente a pacientes com DMD e respectivos pais. A QVRS apresentou-se mais satisfatória nos pacientes com DMC, seguidos pelos pacientes com AEP tipo II e III e, por último, pelos pacientes com DMD. A QV da família apresentou-se reduzida quanto aos aspectos relativos ao bem estar material, particularmente no caso das famílias dos pacientes com DMD. A QV das mães/cuidadoras, decresceu conforme o aumento da

idade dos pacientes, quanto aos aspectos psicológicos, sociais e ambientais, em especial a das mães/cuidadoras dos pacientes com AEP.

Descritores: qualidade de vida; doenças neuromusculares; distrofia muscular de Duchenne; atrofias musculares espinais da infância; distrofia muscular de cinturas do cingulo dos membros; inquéritos e questionários; estudos de validação.

Simon VA. *Quality of life in children and adolescents with neuromuscular diseases and validation of two questionnaires into Portuguese: Life Satisfaction Index for Adolescents - LSI-A and Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne Muscular Dystrophy Module - PedsQL DMD* [Thesis]. São Paulo: "Faculdade de Medicina, Universidade de São Paulo"; 2016.

INTRODUCTION: Progressive muscular dystrophies and spinal muscular atrophy (SMA) are neuromuscular diseases (NMD) characterized by irreversible degeneration of muscle fibers which leads to muscle weakness and motor disability. *Health-related quality of life* (HRQoL) includes subjectivity, multidimensionality, negative and positive aspects on the perception and individual life expectancy; in addition, it suffers cultural influences. **BACKGROUND:** The assessment of HRQoL is essential to define the response to the multidisciplinary or effective treatment of patients with NMD and to indicate measures to increase the therapeutic success. **OBJECTIVES:** to validate to the Portuguese the following HRQoL instruments for patients with NMD: *Life Satisfaction Index for Adolescents* (LSI-A) and *Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne* (PedsQL Duchenne); to evaluate the HRQoL of patients with *Duchenne muscular dystrophy* (DMD), *spinal muscular atrophy* (SMA) or *limb girdle muscular dystrophy* (LGMD), and to assess the family and caregiver QoL. **METHODOLOGY:** The LSI-A and PedsQL Duchenne questionnaires were validated obeying the stages of cultural adaptation and validation. After validation, the LSI-A questionnaire was administered to patients with DMD, SMA or LGMD, the PedsQL Duchenne to patients with DMD, and the PedsQL NM to patients with SMA or LGMD. Parents of patients responded to FQoL and mothers/caregiver to WHOQOL-Bref. For statistical calculations were used: α test Cronbach, CIC, Pearson, ROC curve for validation, and Mann Whitney, Friedman and Dunn for the application. **RESULTS:** Validation: the final "Probe" of the LSI-A parents version was 97% and patient version, 95%; PedsQL DMD parents version, 99% and patient version, 97%, indicating excellent comprehension; Cronbach's α test at LSI-A parents and patients version, respectively, achieved overall score 0.87 and 0.89; at PedsQL parents and patient version, respectively, were obtained overall score 0.87 and 0.84. At both it was demonstrated high reliability of the items. At the application of LSI-A parents and patients version to measure HRQoL compared to controls, there was a greater number of significant dominions in DMD, SMA and LGMD, in that order. The PedsQL DMD module and NM followed the same sequence. **CONCLUSIONS:** According with the psychometric data, questionnaires are valid to be applied to parents and patients with NMD, as follows: LSI-A to parents and patients with DMD, SMA and LGMD, and PedsQL 3.0 Duchenne to patients with DMD and parents. The HRQL was more satisfactory in patients with LGMD, followed by patients with SMA and, finally, by DMD patients. The family QoL presented reduction of the aspects concerning material well-being, particularly for families of patients with DMD. The QoL of mothers decreased with the increase of the patients' age, concerning the psychological, social and environmental aspects, in particular for the mothers of patients with SMA.

Descriptors: quality of life; neuromuscular disease; muscular dystrophy, Duchenne; spinal muscular atrophies of childhood; muscular dystrophies, limb-girdle; surveys and questionnaires; validation studies.

Qualidade de vida relacionada à saúde (QVRS) inclui uma variedade de condições que podem afetar a percepção do indivíduo, seus sentimentos e comportamentos relacionados com a funcionalidade diária, incluindo, mas não se limitando, à condição de saúde e às intervenções médicas (Bullinger et al., 1993). É a resposta do indivíduo às circunstâncias da vida e a habilidade para lidar com as mesmas bem como equilibrá-las (Devinsky et al., 1999). Segundo Neugarten et al. (1961), o conceito de QVRS é relativo à moral, ajustamento e bem estar mental.

As variações na definição de QVRS implicam em subjetividade, multidimensionalidade e presença de aspectos negativos e positivos diante da percepção e da expectativa individual de vida, devendo-se considerar, ainda, a influência cultural.

A maioria das doenças neuromusculares (DNM) crônicas, devido à diminuição da força muscular e da função motora, afeta de forma particular o dia-a-dia e a QVRS do paciente e seus familiares, não somente em relação aos cuidados necessários para o suporte vital do paciente como também devido ao pensamento recorrente de que se trata de doença frequentemente progressiva, potencialmente fatal e sem tratamento efetivo disponível.

Nos últimos anos, o tratamento paliativo de parte destas DNM tem apresentado maior eficácia, o que levou a aumento considerável da sobrevida; também surgiram perspectivas de tratamento efetivo.

Para este trabalho, dentre as diferentes formas de DNMs, foram selecionados pacientes com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), Amiotrofia Espinhal Progressiva II e III (AEP) e Distrofia Muscular do tipo Cinturas (DMC), devido às

características de intenso comprometimento da função motora e da existência de perspectivas terapêuticas efetivas.

As distrofias musculares constituem um grupo heterogêneo de DNMs caracterizadas pela degeneração progressiva e irreversível da musculatura do indivíduo que leva à fraqueza muscular e incapacidade motora. São doenças causadas por mutações em diferentes genes que resultam na deficiência ou perda de função de proteínas essenciais do citoesqueleto, do sarcolema, da matriz extracelular ou do núcleo da fibra muscular. Atualmente, mais de 80 formas de distrofia muscular já foram identificadas, diferenciadas entre si pelo tipo de herança, idade de aparecimento dos sintomas (desde o nascimento até a idade adulta), gravidade, velocidade de progressão da doença, e grupos musculares preferencialmente afetados. Não há tratamentos efetivos que impeçam a progressão da doença, sendo utilizados métodos paliativos, tais como fisioterapia, cirurgias ortopédicas corretivas das contraturas musculares e da deformidade de coluna, além de corticoterapia, sobretudo em pacientes com DMD. Inúmeras pesquisas estão em andamento com a finalidade de encontrar tratamentos efetivos, entre os quais a modificação do tipo de mutação, terapia celular, terapia gênica e métodos de regeneração da fibra muscular.

A AEP é uma doença de herança autossômica recessiva que leva à degeneração dos motoneurônios da medula espinhal e, portanto, à atrofia muscular secundária. A mesma mutação, no gene SMN1, leva a três fenótipos distintos quanto à idade de início e à gravidade, que se correlacionam com o número de cópias do gene SMN2. Na AEP tipo I, o início é no primeiro semestre de vida e o quadro clínico é muito grave, sem perspectiva de desenvolvimento motor e insuficiência respiratória restritiva devido ao comprometimento da musculatura intercostal. Na AEP tipo II, de início no segundo

semestre de vida, a habilidade máxima é sentar sem apoio; a fraqueza muscular é lentamente progressiva e a insuficiência respiratória restritiva também se manifesta nos primeiros anos de vida. Na AEP tipo III, de início a partir do segundo ano de vida, depois de a criança ter adquirido a marcha, o curso clínico e a gravidade são variáveis, podendo ou não ocorrer perda de marcha independente e insuficiência respiratória restritiva. Da mesma forma que para as distrofias musculares, ainda não há tratamento efetivo apesar de inúmeras perspectivas terapêuticas em estudo, por isso são adotados métodos de tratamento paliativo.

Avaliar a QVRS destes pacientes é uma das maneiras de determinar os resultados de novas terapias e de diferentes modalidades de tratamento paliativo, a fim de planejar o tratamento mais adequado a cada caso.

Devido à escassez de instrumentos de avaliação da QVRS em pacientes com DNM, o presente trabalho tem a finalidade de validar dois questionários de QVRS, com suas respectivas versões pais e pacientes, para a língua portuguesa, bem como aplicá-los aos pacientes com DNM.

2.1 Distrofia muscular de Duchenne

A distrofia muscular de Duchenne (DMD), de herança recessiva ligada ao X e incidência de 1: 5000; é a miopatia mais frequente em crianças (Stark, 2015).

É causada por mutações do gene que codifica a proteína distrofina, maior proteína do complexo de glicoproteínas que estabiliza a membrana da fibra muscular e a ancora com a matriz extracelular (Leturcq et al., 2015).

O quadro clínico da DMD obedece a uma cronologia precisa: alterações de marcha, dificuldade para subir escadas, quedas frequentes e hipertrofia de tríceps sural antes de quatro anos de idade; início da fraqueza muscular na cintura pélvica entre três e quatro anos de idade, caracterizada por acentuação da lordose lombar, marcha anserina e sinal de Gowers (levantar miopático); início da fraqueza na cintura escapular entre seis e oito anos de idade; incapacidade de marcha independente entre oito e 12 anos de idade; óbito na terceira ou quarta década por insuficiência cardíaca ou respiratória. Praticamente todos os pacientes com DMD apresentam miocardiopatia ao longo da vida e 30% manifestam deficiência intelectual e distúrbios comportamentais. Níveis elevadíssimos de creatina fosfoquinase (CPK) são encontrados desde o nascimento. O diagnóstico é efetuado através do teste molecular ou, na falta deste, através de análise imunohistoquímica de distrofina na biópsia muscular. A proteína está ausente em pacientes com DMD e alterada qualitativa e quantitativamente em pacientes com

Distrofia Muscular de Becker (DMB) (Bushby, 2010; Mercuri & Muntoni, 2013; Flaniga, 2014; Wein et al., 2015).

O tratamento paliativo da DMD melhorou acentuadamente nas duas últimas décadas e com ele a sobrevida, principalmente devido à generalização do uso de corticoterapia, ao emprego de métodos ventilatórios mais eficientes, principalmente pressão positiva intermitente não invasiva noturna, e à abordagem precoce da miocardiopatia, antes que se torne sintomática. Mesmo assim, o tratamento multimodal é muito heterogêneo, nem sempre disponível e distante do que seria ideal para melhorar a QV de pacientes e familiares, além de facilitar a pesquisa do mecanismo de degeneração da fibra muscular e o encontro de terapêuticas eficazes. Na atualidade, a maioria dos pacientes adequadamente tratados sobrevive na terceira década de vida ou mesmo após, sendo imperioso o preparo das equipes multimodais de saúde para lidarem com a transição do paciente com DMD da adolescência à idade adulta e nela se manter com QV (Crowley et al., 2011).

A fim de aprimorar e uniformizar o tratamento paliativo, pesquisadores dos melhores centros de estudo das DNM, principalmente norte-americanos e europeus, elaboraram um consenso de cuidados paliativos que denominaram *DMD Care Considerations Working Group* (Bushby et al, 2010; partes 1 e 2).

A corticoterapia para o tratamento de pacientes com DMD é adotada desde a década de 80, embora ainda não esteja totalmente esclarecido o mecanismo de ação pelo qual ocorre o prolongamento do tempo de manutenção da marcha (Griggs et al., 2010; Moxley et al., 2010; Gloss et al., 2016).

Biggar et al., 2006, afirmaram que a corticoterapia oferece maior expectativa de vida às crianças com DMD e esperança às mesmas e suas famílias. A mobilidade, motricidade, função respiratória e cardíaca dos pacientes com DMD tratados com corticóide é são melhores quando comparadas àquelas dos pacientes não tratados.

Hu et al., 2015, avaliaram 66 pacientes com DMD entre quatro e 12 anos de idade, através do instrumento PedsQL NM a fim de comparar o resultado de corticoterapia com prednisolona (0,75 mg/kg/dia, ao longo de 12 meses) *versus* placebo. Além da QV, foram avaliadas força muscular, funcionalidade, ultrassom muscular quantitativo e efeitos colaterais da corticoterapia. No grupo de pacientes em corticoterapia houve melhora significativa de todos os parâmetros em comparação com o grupo placebo.

As alternativas de tratamento efetivo em pacientes com DMD vêm se ampliando após décadas de pesquisas com modelos animais, culturas de tecidos e estudos clínicos fases I e II que consistem principalmente em substituição ou correção do defeito do gene e proteína envolvida ou em limitação da progressão do processo distrófico através da prevenção de necrose e fibrose muscular, bem como incrementando a regeneração muscular (Mercuri & Muntoni, 2013; Strehle & Straub, 2015; Wein et al., 2015).

São raras as avaliações de QV em pacientes com DMD que se focam prioritariamente na QV em si; em geral trata-se de questionários aplicados com a finalidade de avaliar o resultado de um determinado tipo de tratamento, por exemplo, cirurgia da escoliose (Bridwell et al., 1999; Takaso et al., 2010).

O tratamento do paciente com DMD não é completo sem o suporte de seu bem-estar psicossocial (Bushby et al., parte 1, 2010). Para diversos pais, o estresse causado

pelos problemas psicossociais do filho excede o estresse ligado aos aspectos físicos da doença. O tipo de suporte psicossocial varia de acordo com a idade do paciente e o estágio da doença (Abi Daoud et al., 2004; Green & Murton, 1996; Hendriksen et al., 2009; Nereo, 2003).

2.2 Distrofia de Cinturas dos Membros (Síndrome de Cinturas)

As distrofias de cinturas dos membros (DMC), (em inglês, *limb girdle muscular dystrophy*, sigla LGMD) têm alta heterogeneidade genética e clínica, afetando predominantemente os músculos das cinturas, escapular e pélvica, e proximais dos membros. Em geral poupam a musculatura facial, cranial, ocular e bulbar. O início se dá em qualquer época, da infância até a velhice. Cardiopatia e comprometimento do Sistema Nervoso Central podem ocorrer em subtipos específicos. Em 1995, Bushby et al., propuseram a classificação em dois grupos: LGMD1, de herança autossômica dominante e LGMD2, de herança autossômica recessiva. Dentro de cada grupo, atribuíram letras do alfabeto, conforme a ordem de identificação do locus genético, aos diferentes subtipos.

Na atualidade, a heterogeneidade genética é grande; são continuamente identificadas mutações em diferentes genes e considerados novos mecanismos etiopatogênicos (Mahmood & Jiang, 2014; Nigro & Savarese, 2014).

Uma revisão recente, apresentada pela Academia Americana de Neurologia para estabelecer as diretrizes sobre diagnóstico e tratamento da distrofia de cinturas, considera uma prevalência de 0,07 a 0,43/100.000 (Narayanaswami et al., 2014).

As distrofias de cinturas de herança autossômica dominante correspondem a apenas 10% dos casos. No Brasil, a maior parte dos estudos sobre as LGMD foram realizados no *Centro de Estudo do Genoma Humano* da USP: calpainopatias (LGMD2A) e sarcoglicanopatias correspondem a um terço dos casos, vindo a seguir disferlinopatias (LGMD2B, 22%), alfa-distroglicanopatias por mutações do gene FKRP (11%) e, finalmente, teletoninopatias (LGMD2G), com frequência mal definida (Zatz et al., 2003; Vainzof & Bushby, 2010).

A etiopatogenia das distrofias de cinturas é variável, sendo que o defeito molecular pode interferir com a função de proteínas sarcolemas, nucleares, da unidade contrátil e suas proteínas de suporte, além de glicosiltransferases agindo sobre a alfa-distroglicana, justaposta externamente ao sarcolema (Mahmood & Jiang, 2014).

O quadro clínico é amplamente variável, sendo que alguns pacientes perdem a capacidade de deambulação independente precocemente, ainda na segunda década, desenvolvendo escoliose e insuficiência respiratória restritiva, enquanto outros têm curso lentamente progressivo e mantêm boa funcionalidade, embora com limitação. O CPK mostra nível elevado em diferentes graus, sendo raramente normal. O diagnóstico molecular, quando disponível, determina o subtipo de distrofia de cinturas em aproximadamente dois terços dos pacientes. No Brasil, a biópsia muscular com análise imunohistoquímica das proteínas musculares e técnicas de western-blotting, ainda é o método diagnóstico mais utilizado (Cotta et al., 2014; Narayanaswami et al, 2014; Wicklund & Kissel, 2014).

Em relação ao tratamento, as perspectivas terapêuticas efetivas são ainda mais restritas que no caso da DMD; tratamento paliativo, bem como prevenção das complicações, deve ter enfoque multimodal, individualizado conforme o grau de

gravidade apresentado pelo paciente, e ser implantado o mais precocemente possível após o início das manifestações clínicas. Há numerosos estudos pré-clínicos bem sucedidos, porém a translação para a espécie humana de tratamentos efetivos e acessíveis que reduzam a carga da doença e melhorem a qualidade de vida é um processo longo e demorado (Straub & Bertoli, 2016). Assim como foi comentado no caso da DMD e AEP, a medicina translacional depende de melhor entendimento da história natural das DMC, altamente heterogêneas entre si, disponibilidade e uniformização de cuidados clínicos e de instrumentos para avaliação de resultados, além de registros precisos dos pacientes e colaboração entre organizações de famílias, indústria farmacêutica e órgãos de fiscalização e regulação de novas intervenções terapêuticas.

2.3 Amiotrofia Espinhal Progressiva

A AEP, de herança é autossômica recessiva e incidência de 1/6000 a 1/10000 nascidos vivos, é causada por mutação do gene SMN1 em homozigose ou, mais raramente, em heterozigose composta, levando à falta total da proteína SMN1; existem, no entanto, cópias do gene do SMN2, mais centromérico, cujo número modula a gravidade do fenótipo clínico (Sumner, 2006; Wee et al., 2010; Darras, 2015; Finkel et al., 2015).

Ocorrem três fenótipos clínicos principais: 1. na AEI tipo I (doença de Werdnig-Hoffmann), geralmente com duas cópias do gene SMN2, ocorre desde o nascimento ou até os seis meses de vida, intensa hipotonia, fraqueza muscular e atrofia, inicialmente de predomínio proximal, bem como dificuldade de sucção e insuficiência respiratória

restritiva de intensidade variável devido à atrofia da musculatura intercostal; a sobrevida depende de suporte ventilatório e cuidados de *home-care*. É altamente sugestivo o achado de atrofia de língua e fasciculações que formam sulcos e ondulações, visíveis na língua ou em outros músculos, principalmente peitorais. 2. na AEI tipo II, forma intermediária, há geralmente três cópias do gene SMN2 e o início ocorre no segundo semestre de vida, após o bebê ter desenvolvido a habilidade de sentar que permanece como máxima atividade motora; fraqueza e atrofia muscular, bem como contraturas, escoliose e insuficiência respiratória restritiva progridem rapidamente, sendo necessários métodos de suporte respiratório já nos primeiros anos de vida. As fasciculações são muito evidentes, embora não constantes, e outro aspecto clínico sugestivo são minipolimioclonias, que correspondem a um tremor irregular, do tipo postural, mais facilmente evidenciado na hiperextensão das mãos e dos dedos. 3. na forma juvenil, tipo III, de gravidade variável, existe geralmente quatro cópias do gene SMN2, e o início se dá a partir do segundo ano de vida, quando a maioria dos pacientes já adquiriu a marcha. O quadro clínico pode ter características miopáticas com hipertrofia de tríceps sural e atrofia de predomínio proximal e, embora pareça estável nos primeiros anos da evolução, na maioria dos casos leva à insuficiência respiratória restritiva, cifoescoliose, contraturas, e perda da marcha ao longo dos anos da adolescência para cerca de 50% dos pacientes. Em resumo, a história natural da AEP inclui diferentes fases: pré-sintomática; de rápida perda funcional; de aparente estabilização e pouca progressão; de eventual percepção de melhora e, surtos de exacerbação por ocasião de infecções e estresse (Faravelli et al., 2015; Mercuri et al., 2012 e 2016).

A pesquisa de mutações do gene SMN1 é um teste molecular de fácil obtenção nos centros especializados, permitindo também o diagnóstico pré-natal e até pré-implantacional; porém, ainda não está disponível em toda rede pública brasileira.

Tratamento paliativo por equipe multimodal de reabilitação, bem como suporte respiratório e nutricional, é indispensável e deve ser adotado o mais precocemente possível. A manutenção da independência ao longo da adolescência e na transição para a vida adulta deve ser a preocupação primordial das equipes de tratamento multimodal (Finkel et al., 2015).

Dentre inúmeras pesquisas, as principais perspectivas de tratamento efetivo são: oligonucleotídeos *antisense* com ação no pré-mRNA do gene SMN2, que contornam o skipping do exon 7 do gene SMN2, propiciando aumento correspondente da proteína, e olesoxima por via oral que é um dos diversos neuroprotetores, já testados, inclusive em pacientes com esclerose lateral amiotrófica (Arnold & Burghes, 2013; Darras, 2015; d'Ydewalle & Sumner, 2015; Iascone & Henderson, 2015).

Nos EUA está em andamento um extenso estudo para análise geral do curso longitudinal de sobrevida e função motora em pacientes com AEP – *NeuroNEXT biomarker study* (clinicaltrials.gov ID NCT01736553) – avaliadas através de diferentes escalas funcionais, miometria, nível de proteína SMN2 no sangue e possíveis biomarcadores (Finkel et al., 2015). A escala *Clinical Global Impression* (CGI), aplicada separadamente a investigadores e pais/pacientes pode ser uma medida para avaliar qualidade de vida, assim como o instrumento *Pediatric Outcomes Data Collection Instrument* (PODCI – perspectiva dos pais e pacientes).

Para que o tratamento multidisciplinar de pacientes com DNM crônica obtenha rendimento máximo é indispensável que os diferentes cuidados sejam padronizados e aplicados de modo uniforme nos diferentes centros, a fim de que sejam reproduzíveis,

estendendo a possibilidade de participação em testes clínicos também a pacientes que não sejam oriundos de centros neuromusculares de excelência. Finkel et al., 2015, salientam também os conceitos de significância clínica e diferenças mínimas clinicamente significativas que ajudam a avaliar se uma determinada intervenção faz uma diferença real na vida do paciente e das pessoas com quem interage.

2.4 Qualidade de vida Relacionada à Saúde (QVRS) e DNM

Qualidade de vida inclui o bem-estar físico, emocional e social, conforme relatado pela criança ou por uma pessoa próxima, por exemplo, os pais (Eiser & Morse, 2001). Guyatt et al., 1993, definiram três situações em que as medidas de QVRS poderiam ser usadas na prática clínica de rotina ou em pesquisas: discriminar a QVRS entre indivíduos e grupos (índice de discriminação); prever ou classificar indivíduos em um conjunto de categorias pré-definidas (índice preditivo) e avaliar a magnitude da mudança longitudinal de um indivíduo ou grupo (índice de avaliação).

De forma geral, aplicações repetidas dos instrumentos no decorrer de um determinado período, podem evidenciar melhora ou piora do paciente quanto aos diferentes aspectos físicos e psíquicos e são úteis para a avaliação da eficácia de determinadas intervenções (Ebrahim, 1995). Além disso, norteiam a decisão quanto à melhor distribuição dos recursos de assistência à saúde. Quanto mais preciso for o instrumento de avaliação da QVRS, mais eficaz será a avaliação do tratamento (Nair et al., 2001).

Abresch, 1998, considera que a QVRS não está somente relacionada à incapacidade física, mas à falta de informação sobre a doença e os tratamentos disponíveis, às atitudes negativas, à diminuição da expectativa quanto ao próprio potencial, às condições financeiras e, conseqüentemente, grau de acesso a cuidados médicos, bem como às oportunidades sociais e profissionais.

Boström & Ahlström, 2005, afirmam que os pacientes com DNM apresentam menor QVRS do que seus familiares por não terem trabalho ou ocupação significativa e, portanto possuem menos energia, autoconfiança, autoaceitação e experiências emocionais. Em âmbito social de inclusão, Bendixen et al., 2012, orientaram eleger atividades que as crianças com DNM possam participar. Embora o quadro das mesmas realmente afete negativamente a QVRS em alguns domínios, Grootenhuis, 2007, notou que os profissionais de saúde subestimam a QVRS de seus pacientes, o que pode afetar o nível de atendimento a estes. Na mesma linha, Boyer et al., 2006, salientaram a necessidade de suporte psicológico adequado para que se desenvolvam estratégias de enfrentamento do quadro das DNM.

Um modelo abrangente de itens que compõem a QV dos pacientes com distrofias musculares foi proposto por Bann et al., 2015, sendo proveniente de um consenso entre pacientes e diferentes organizações de suporte a pacientes com distrofias ao qual foi aplicada a técnica Delphi (*Consensus-based Standard for the selection of health status Measurement Instrument – COSMIN*). O Consenso incluiu diferentes variáveis além dos aspectos físicos, tais como aspectos psicológicos e sociais (por exemplo, recursos, expectativas do sujeito, etc.). O trabalho reviu 15 questionários disponíveis na literatura para adultos e crianças com distrofia muscular e conclui que nenhum questionário abrange de forma completa as diferentes variáveis que compõem a QV. Os autores sugerem que um banco de itens a serem contabilizados a respeito da

QV e aplicações computadorizadas para serem adaptadas a cada paciente em particular seriam particularmente benéficas. Assim como Bann et al., 2015, Wei et al., 2015, também elegeram a área física, psicológica e social para acompanhar a saúde. Em revisão de literatura observaram que os questionários mais utilizados para DNMs foram PedsQL DMD, PedsQL NM e LSI-A, os quais apresentaram dados psicométricos confiáveis.

Na atualidade, estudos especializados de neuroimagem funcional (*Projeto Conectoma Humano*) têm permitido correlacionar sistemas e vias neurais dentro da complexa rede de conexões do cérebro humano com padrões comportamentais específicos, cujo estudo inclui variáveis como a satisfação com a vida (Smith et al., 2015).

2.5 Questionários utilizados para avaliar a QVRS

Os instrumentos (questionários) de QVRS têm sido utilizados para conhecer e comparar o estado de saúde entre populações (aspecto fundamental para estratégias e programas em políticas de saúde) e avaliar o impacto de certas intervenções terapêuticas no sentido de modificar os sintomas e a funcionalidade ao longo do tempo.

Os questionários complementam a avaliação clínica do paciente e a condução dos ensaios clínicos (Gill & Feinstein, 1994), sendo úteis para descrever a evolução da doença e detectar mudanças na QVRS através do tempo. Também permitem prever o tipo de incapacidade futura e o prognóstico e decidir as características do tratamento (Bombardier & Tugwell, 1987).

Portanto, o instrumento de avaliação da QVRS não deve se limitar a medir apenas a presença e a gravidade dos sintomas de uma doença, ele também deve ser capaz de valorizar aspectos da vida fora do contexto da “saúde” (Bullinger et al. 1993; Teixeira-Salmela et al., 2004).

Segundo, Devinsky et al., 1999, a maturação cognitiva é responsável pela adaptação à situação, estabelecendo mudanças positivas na QVRS, ou seja, o estado mental/psicológico diante da saúde e da vida regula a QV.

O questionário é o instrumento utilizado para caracterizar os sintomas e as modalidades terapêuticas nos diversos aspectos referentes à QVRS dos pacientes. Como regra geral, para avaliar o seu resultado utiliza-se uma contagem de pontos que são somados, proporcionando uma nota final ou score, o que transforma uma medida qualitativa em quantitativa (Chassany et al., 2002).

Segundo Eiser & Morse, 2001 b, em alguns questionários há problemas quanto à quantificação da QVRS de crianças e adolescentes, tais como a não especificidade de doenças, a discrepância entre as anotações de pais e pacientes, a limitada disponibilidade de autoaplicação por crianças e adolescentes, a falta de precisão quanto ao conteúdo dos domínios da QVRS e a inadequação cultural. Estes mesmos autores em outro trabalho de 2001 enfatizaram a necessidade de desenvolver instrumentos mais abrangentes para a mensuração da QVRS em pediatria: o conceito de QVRS deve ser mais global, ao invés de fragmentar-se em séries de indicadores clínicos específicos.

2.6 Questionários de QVRS utilizados nesse estudo:

Neste estudo avaliou-se a QVRS de pacientes com DMD, AEP tipo II e III e DMC mediante utilização de questionários específicos: LSI-A, PedsQL DMD, PedsQL NM). Também foi analisada a QV familiar (FQoL) e do(a) cuidador(a) (WHOQOL-Bref).

2.6.1 Life Satisfaction Index for Adolescents - LSI-A

Renwick & Reid, 1994, desenvolveram o instrumento *Life Satisfaction Index for Adolescents* (LSIA) para avaliar a QVRS de adolescentes com DMD. Para a elaboração do questionário LSI-A, as autoras realizaram diversos processos: entrevista com os pais de pacientes com DMD sobre os principais fatores de estresse experimentados por eles; entrevistas informais com clínicos que trabalhavam com adolescentes com DMD e suas famílias; e entrevistas com adolescentes com e sem DMD.

O questionário LSI-A deve ser direcionado para pacientes com DMD e por semelhança com outras DNM. Possui 45 questões com escala do tipo *likert* de 1 a 5 (1 para “discordo plenamente”, 2 para “discordo”, 3 para “não concordo nem discordo”, 4 para “concordo”, 5 para “concordo plenamente e 0 para “não aplicável”). Abrange cinco domínios com 09 questões cada: *Bem Estar Geral*, *Relacionamento Interpessoal*, *Desenvolvimento Pessoal*, *Satisfação Pessoal* e *Lazer e Recreação* (Renwick & Reid 1994). Quanto à quantificação, o escore máximo de cada domínio é de 45 pontos, pois são nove questões valendo, no máximo, cinco pontos cada. No resultado, o escore mais alto, total e em cada domínio, representa melhor QVRS.

Parrish (1996) considerou a viabilidade da aplicação do LSI-A também para pacientes com DNM em geral. Em relação aos itens, quando aplicado a pacientes com DNM, obteve consistência interna $\alpha = 0.52\text{--}0.88$.

Melo, 2005, em revisão de literatura, afirma que os resultados da aplicação do LSI-A mostraram que a validação do constructo foi significativa para todos os domínios, o que torna este instrumento promissor para a elaboração de futuras pesquisas.

Solans et al., 2008, em estudo sobre questionários de QVRS, concluem que o LSI-A cumpre rigorosamente as normas das propriedades psicométricas, sendo sensível à percepção de mudanças nos domínios da QVRS.

McDougall et al., 2010, examinaram a relação entre autodeterminação e percepção de QVRS de adolescentes e adultos jovens com doenças crônicas e deficiências. Trinta e quatro indivíduos responderam ao LSI-A, duas vezes, no intervalo de um ano. Os resultados sugeriram que indivíduos com maior autoconfiança no início do estudo relataram maior QVRS nos domínios *Desenvolvimento Pessoal* e *Realização Pessoal*.

Simon et al., 2011, aplicaram o questionário LSI-A a 95 crianças com DMD, entre cinco e 17 anos de idade. O mesmo mostrou-se eficaz para qualificar e quantificar, ao longo do acompanhamento, a QV dos pacientes, pois abrange uma grande diversidade de circunstâncias.

Bray et al., 2011, relataram limitações em atividades, na participação social, na condição física e no aspecto psicossocial da criança com DMD. A média de QI desses pacientes concentra-se em torno de 80, o que corresponde a um desvio padrão abaixo do QI da população geral (Cotton et al., 2001). Zachi et al., 2012, referem que em relação à DMD deve-se levar em conta o perfil de inteligência e a progressão do

comprometimento motor. Pacientes com DMD estão mais propensos a distúrbios psicológicos e comportamentais, além de inadequação social e escolar. Em pacientes maiores, evidencia-se menor participação e pior desempenho escolar.

2.6.2 Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne - PedsQL Duchenne

O Pediatric Quality of Life Inventory Duchenne (PedsQL Duchenne) foi criado por Uzark et al., 2012, com o objetivo de mensurar a QVRS de crianças com DMD. Compreende 18 questões distribuídas em quatro domínios: *Atividades Diárias* (cinco questões); *Tratamento* (quatro questões); *Preocupação* (seis questões), e *Comunicação* (três questões). Os escores obedecem, em ordem inversa, à escala Likert: “quase sempre” equivale a zero pontos; “frequentemente” a 25 pontos; “algumas vezes” a 50 pontos; “quase nunca” a 75 pontos, e “nunca” a 100 pontos. Divide-se o escore total de cada domínio pelo número de questões do mesmo e obtém-se o escore resultante daquele domínio entre 0 e 100 pontos. Quanto maior o escore, melhor a QVRS. Também é possível calcular o escore total, somando o escore pontuado em cada uma das questões e dividindo o resultado pelo número total de questões. Os autores analisaram 117 meninos com DMD e 203 pais, concluindo que o aspecto psicossocial da QVRS esteve prejudicado em 57% dos casos. Tanto os pais como os pacientes tiveram QVRS menor do que seus pares saudáveis. Apesar do aspecto físico em constante declínio, meninos maiores parecem perceber melhor a QVRS psicossocial do que seus pais e meninos mais novos. Uzark et al., 2012, consideraram este questionário eficaz na avaliação da QVRS e no acompanhamento de pacientes com DMD, com dados psicométricos acima do padrão exigido.

Devido à recente criação e validação do PedsQL *Duchenne Module* (2012), não há literatura disponível sobre a aplicação do mesmo além da dos próprios autores, salientando-se que a comunidade científica utiliza, até o presente momento para o paciente com DMD, o PedsQL NM (Iannaccone et al., 2009; Davis et al., 2010; Hu et al., 2013).

2.6.3 Pediatric Quality of Life Inventory Generic – PedsQL NM

O Pediatric Quality of Life Inventory Módulo Neuromuscular (PedsQL NM) é um questionário semelhante ao PedsQL DMD, mas abrangendo todas as DNMs. Inclui 25 questões divididas em três domínios: *Quadro Físico* (17 questões), *Comunicação* (3 questões) e *Recursos Familiares* (5 questões).

Davis et al., 2010, validaram esse questionário aplicando-o a 44 meninos com DMD, de oito a 18 anos de idade e a seus cuidadores, com intervalo entre duas e seis semanas. Concluíram que o PedsQL NM mensura a QVRS de pacientes com distrofias musculares, podendo ser útil à avaliação clínica. A mensuração dos pontos segue o mesmo padrão do PedsQL DMD, exposto anteriormente.

A eficácia deste questionário também foi confirmada por Hu et al., 2013, em aplicação a 56 crianças com DMD, de 2 a 18 anos de idade, e seus pais.

Iannaccone et al., 2009 validaram o PedsQL NM aplicando-o a 176 pacientes com AEP II e III entre dois e 18 anos de idade. Consideraram-no adequado para mensuração da QVRS destes pacientes, pois apresentou dados psicométricos satisfatórios.

2.6.4 Qualidade de Vida Familiar – FQoL

O questionário FQoL quantifica o nível da QV Familiar e sua relação com a adequação dos recursos. Foi criado em 2007 por Summers et al., 2007, e apresenta 25 questões em escala *Likert*, cada uma valendo cinco pontos, distribuídas em cinco domínios, contados de forma progressiva:

1 - *Interação Familiar* – relação entre os membros da família e o clima emocional decorrente dessa mesma relação, com valor entre 0 e 30 pontos.

2 - *Parentalidade* – forma como os adultos da família orientam, disciplinam, se posicionam e ensinam às crianças, com valores entre 0 e 30 pontos.

3 - *Bem estar emocional* – estado mental da família e segurança nos contextos onde a família vive: casa, vizinhança, emprego, escola, com valor entre 0 e 20 pontos.

4 - *Bem estar físico* – se refere à condição de bens familiares, com valor entre 0 e 25 pontos.

5 - *Auxílio à doença* – compreende o apoio recebido quanto a intervenções relativas à situação física do paciente, com valor entre 0 e 20 pontos.

Guidotti & Lean, 2001, em pesquisa com famílias de pacientes incapazes utilizando o FQoL, enfatizam a necessidade de recursos oferecidos a estas famílias.

2.6.5 WHOQOL-Bref aplicado aos pais ou cuidadores

Desenvolvido por Fleck et al., 2000, é constituído por 26 perguntas divididas em cinco domínios: *Físico, Psicológico, Relações Sociais, Meio Ambiente e Geral*. As respostas seguem a escala de Likert (de 1 a 5). Quanto maior a pontuação melhor a QV.

Crocker, 2015, considerou este questionário amplamente aplicável aos cuidadores de pacientes com diversos quadros patológicos.

Pedroso et al., 2010, desenvolveram um software para contagem dos escores do instrumento *WHOQOL-Bref*, através do qual os resultados são convertidos a uma escala de 0 a 100 pontos.

Hwand & Koo, 2010, aplicaram o *WHOQOL-Bref* aos pais de pacientes com DMD e Becker e constataram que todos os domínios de QV sinalizaram sintomas depressivos.

Moura, 2014, evidenciou que a QV do cuidador de paciente com DMD diminui à medida que a idade da criança avança. Na mesma linha, Çakaloz et al., 2010, também utilizaram o *WHOQOL-Bref* como instrumento de avaliação da QV de 16 mães de pacientes com DMD e 28 mães de crianças saudáveis; constataram menor QVRS das mães/cuidadoras de crianças com DMD.

3. JUSTIFICATIVA

A QVRS, segundo a Organização Mundial de Saúde, é a “percepção do indivíduo de sua posição na vida dentro do contexto cultural e sistema de valores nos quais ele vive e em relação aos seus objetivos, expectativas, padrões e preocupações”. Essa percepção é afetada pela saúde física, estado mental, nível de independência, relacionamento social e pessoal, de modo a caracterizar o ambiente do indivíduo (Burns et al., 2011). Sua mensuração, através de instrumentos específicos, constitui uma ferramenta complementar para analisar a resposta ao tratamento multimodal ou efetivo que o paciente recebe (Velarde et al., 2002). Por isso a avaliação da QVRS em pacientes com DNM é necessária à interpretação dos resultados das novas perspectivas terapêuticas em desenvolvimento para DNM, contribuindo para a análise clínica do quadro dos pacientes e para a adoção das medidas paliativas pertinentes. Apesar de sua importante função, há poucos estudos sobre a QVRS de crianças com DNMs e a maioria dos já existentes usa linguagem sofisticada e predomínio dos pais como informantes (Gómes-Vela & Sabeh, 2004).

Com o objetivo de disponibilizar instrumentos mensuradores de QVRS, este estudo validará para língua portuguesa os questionários LSI-A versão pais e versão paciente, e o PedsQL Módulo Duchenne, versão pais e versão paciente. Também os aplicará, assim como o PedsQL Módulo NM, versão pais e versão paciente. Todos os três questionários e respectivas versões possuem eficácia já referendada em literatura (Wei et al., 2015).

Os WHOQOL-Bref e FQoL também serão utilizados de modo a aumentar a amplitude da avaliação da QV dos pais e familiares dos pacientes com DNM.

4. OBJETIVOS

1. Validar para o português os seguintes instrumentos de avaliação de QVRS:
 - a) *Life Satisfaction Index for Adolescents* - LSI-A para pacientes com DMD, AEP tipo II, AEP tipo III e Distrofia Muscular tipo Cinturas (DMC):
 - versão pais de pacientes de 5 a 18 anos de idade;
 - versão paciente de 8 a 18 anos de idade.
 - b) PedsQL 3.0 Módulo Duchenne para pacientes com DMD:
 - versão pais de pacientes entre cinco e 18 anos de idade;
 - versão paciente entre oito e 18 anos de idade.
2. Avaliar a QVRS de pacientes com DMD, AEP tipos II e III ou DMC mediante a aplicação dos questionários acima, além do PedsQL NM.
3. Avaliar a repercussão do quadro do paciente sobre a QVRS de cuidador (a) e da família mediante aplicação dos questionários WHOQOL-Bref e FQoL.

O protocolo de pesquisa foi aprovado pela Comissão de Ética para Análise de Pesquisa CAPPesq da Diretoria Clínica do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo, com o nº 0505/2010 (Anexo I).

5.1 Casuística

De outubro de 2012 a abril de 2014 procedeu-se a validação dos questionários LSI-A versão pais e paciente e PedsQL DMD versão pais e paciente e a aplicação dos mesmos e dos instrumentos PedsQL NM, FQoL e WHOQOL-*Bref*.

Todos os pacientes que participaram desta pesquisa tinham diagnóstico comprovado através de teste molecular (AEP II, AEP III, DMD) ou de análise imunohistoquímica da distrofina e outras proteínas musculares na biópsia muscular (DMD, DMC).

A validação e a aplicação, efetuadas ora por intra ora por interobservadores, ocorreram durante consultas regulares de acompanhamento no Ambulatório de Doenças Neuromusculares do HCFMUSP; abarcou também o grupo controle em igual número de indivíduos saudáveis, pareados por idade, conforme exposto a seguir:

Para **validação** participaram do estudo 47 sujeitos com DMD, 20 com AEP tipo II e III e 17 com DMC. No total, 84 pacientes regularmente matriculados no Ambulatório de Doenças Neuromusculares (DNMs) do HC-FMUSP; com idade entre cinco e 18 anos; 23 do gênero feminino e 61 do gênero masculino; trinta e sete pacientes

eram cadeirantes e 47 não cadeirantes; três pacientes frequentavam o ensino médio, três o ensino superior e 78 o ensino fundamental.

Para **aplicação** participaram do estudo 43 sujeitos com DMD, 21 com AEP tipo II e III e 18 com DMC.

O questionário LSI-A foi aplicado por interobservador a um dos pais / cuidador do paciente com DNM (DMD, AEP II ou III, DMC) entre cinco e sete anos de idade e ao paciente com idade entre oito e 18 anos.

Os questionários PedsQL DMD (a pacientes com DMD) e PedsQL NM (a pacientes com AEP tipo II, AEP tipo III ou DMC) foram aplicados por intraobservador, aos pais e pacientes, com exceção das crianças de 5 a 7 anos de idade, cujo instrumento foi respondido somente pelos pais. A aplicação à Amostra Controle ocorreu da mesma maneira.

Devido aos pacientes com DMD, AEP tipo II, AEP tipo III ou DMC estarem acompanhadas por suas mães/cuidadoras, foram estas que responderam aos questionários FQoL e WHOQOL-*Bref*; esses instrumentos quantificaram a QVRS da família e do cuidador, respectivamente. Os pacientes e respectivos pais/cuidadores foram esclarecidos e informados sobre a pesquisa e, concordando, assinaram o Termo de Consentimento Livre e Esclarecido, conforme o Regulamento da Comissão de Ética e Pesquisa do HC-FMUSP (Anexo II).

Ao todo, 82 pacientes, divididos conforme diagnóstico, tinham média de idade 10.58 anos, sendo 21 do gênero feminino e 61 do gênero masculino. Trinta e sete pacientes eram cadeirantes e 45 não cadeirantes (Tabela 1). Quarenta e três pacientes tinham DMD e destes 15 eram cadeirantes (Tabela 2).

Quanto às características da amostra, de cada DNM avaliada entre 5 a 18 anos de idade, a amostra de DMD teve média de idade de 11,11 anos (Tabela 1), com

diagnóstico realizado em média aos 7,19 anos de idade (Tabela 3), e a duração do tratamento multiprofissional foi de 3,7 anos. A amostra de AEP dos 21 pacientes, cinco eram AEP tipo II e 16 AEP tipo III, a média de idade era de 10,52 anos, com diagnóstico aos 5,22 anos de idade e duração do tratamento multiprofissional de 8,05 anos. A amostra de DMC teve média de idade de 10,1 anos, com média de idade para o diagnóstico foi de 4,93 anos, e duração do tratamento multiprofissional de 4,99 anos.

Dos 82 pacientes com DNM, setenta e cinco pacientes frequentavam o ensino fundamental; quatro pacientes, o ensino médio; e três, o ensino superior. Somente três estavam fora da escola. Todos mostraram aproveitamento escolar de médio a excelente, embora, devido à limitação da mobilidade física, alguns tivessem maior necessidade de ajuda dos educadores ou de adaptação pedagógica específica.

Outras características dos sujeitos, tais como idade por ocasião do diagnóstico, duração e número de sessões multiprofissionais de reabilitação, estão disponíveis nas Tabelas de 1 a 5 e nos Apêndices I, II e III.

As crianças e adolescentes que compuseram o Grupo Controle eram alunos da Escola Municipal de Ensino Fundamental Presidente João Pinheiro (bairro da Vila Matilde, zona leste da capital do Estado de São Paulo), possuíam as mesmas faixas etárias dos pacientes, e foram autorizados pelos pais e pela direção da escola a participarem da pesquisa (Anexo III). Alunos com déficit cognitivo, o qual poderia comprometer os resultados, não foram incluídos na pesquisa. O diagnóstico do déficit cognitivo ocorreu mediante aplicação do *Teste de Desempenho Escolar* – TDE, seguindo os mesmos critérios de exclusão do grupo caso.

5.1.1 Validação e aplicação do LSI-A

No processo de **validação** do questionário LSI-A, versão pais e versão paciente – Versão pais para pacientes entre cinco e 18 anos de idade e versão pacientes para aqueles entre oito e 18 anos de idade, com DMD, AEP tipo II, AEP tipo III ou DMC – foi aferida a consistência interna e a consistência externa do instrumento: confiabilidade e reprodutibilidade. Este questionário foi aplicado também pelo interobservador.

O LSI-A foi **aplicado** à amostra de 82 pacientes, sendo 43 com DMD, 21 com AEP (tipos II ou III) e 18 com DMC. Os pacientes foram divididos em quatro grupos etários, A, B, C e D, considerando as fases de evolução do quadro neuromuscular. Os pais responderam aos questionários dos pacientes do Grupo A das amostras com DMD, AEP ou DMC.

Grupo A - 19 pacientes de 5 a 7 anos de idade (respondido pelo cuidador/ um dos pais).

- oito com DMD, do gênero masculino, média de idade de 6,75 anos, comparados a controles do gênero masculino, média de idade de 6,3 anos;
- cinco com AEP tipo II e III, um do gênero masculino e quatro do feminino, média de idade de 6,4 anos, comparados a controles em igual número e gênero, média de idade de 6,8 anos;
- seis com DMC, três de cada gênero, média de idade de 6,1 anos, comparados a controles em igual número e gênero, média de idade de 6,75 anos.

Grupo B - 21 pacientes de 8 a 10 anos de idade (respondido pelo próprio paciente):

- doze com DMD, do gênero masculino, média de idade de 9,15 anos, comparados a 12 controles do gênero masculino, média de idade de 9,5 anos;
- cinco com AEP, um do gênero masculino e quatro do feminino, média de idade de 9,2 anos, comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 8,8 anos;
- quatro com DMC, um do gênero masculino e três do feminino, média de idade de 8,75 anos, comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 9,3 anos.

Grupo C - 20 pacientes de 11 a 13 anos de idade:

- nove com DMD, do gênero masculino, média de idade 11,5 anos, comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 12,1 anos;
- sete com AEP tipos II e III, quatro do gênero masculino e três do feminino, média de idade de 12,28 anos, comparados a três controles do gênero masculino e quatro do gênero feminino, média de idade de 12,5 anos;
- quatro com DMC, dois do gênero masculino e dois do feminino, média de idade de 11,55 anos comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 12,3 anos.

Grupo D - 22 pacientes 14 a 18 anos de idade:

- Quatorze com DMD, do gênero masculino, média de idade de 15,51 anos, comparados a catorze controles do gênero masculino, média de idade de 15,2 anos;

- quatro com AEP tipo II e III, três do gênero masculino e um do feminino, média de idade de 15 anos comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 15,5 anos;
- quatro com DMC, dois do gênero masculino e dois do feminino, média de idade de 15,25 anos, comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 15,6 anos.

5.1.2 Validação e aplicação do instrumento PedsQL Duchenne

Para a **validação** do PedsQL 3.0 Duchenne, versões pais e paciente, foram incluídos somente pacientes com DMD, constituindo amostras de 39 pacientes e de 47 pais/cuidadores. Foi aferida consistência interna e consistência externa: confiabilidade e reprodutibilidade.

Quanto à **aplicação**, foram avaliados 43 pacientes, subdivididos em Grupos A, B e C, conforme segue:

Grupo A – pacientes de 5 a 7 anos de idade, cujo questionário foi respondido pelo cuidador ou por um dos pais.

- oito pacientes com DMD, média de idade de 6,75 anos, comparados a oito controles do gênero masculino, média de idade de 6,5 anos;

Grupo B – pacientes de 8 a 12 anos de idade, cujo questionário versão pais foi respondido pelo cuidador ou por um dos pais, e versão paciente, respondida pelo próprio paciente.

- 22 pacientes com DMD, média de idade de 10,13 anos, comparados com 22 controles do gênero masculino, média de idade de 10,5 anos.

Grupo C – pacientes de 13 a 18 anos de idade, cujo questionário versão pais foi respondido pelo cuidador ou por um dos pais, e versão paciente, respondida pelo próprio paciente.

- 13 pacientes com DMD, média de idade de 15,23 anos, comparados com 13 controles do gênero masculino, média de idade de 15,5 anos.

5.1.3 Aplicação do instrumento PedsQL NM

O questionário PedsQL NM obedeceu aos mesmos critério de aplicação do PedsQL DMD.

Grupo A - 12 pacientes de 5 a 7 anos de idade (respondido pelo cuidador/ um dos pais).

- cinco com AEP tipo II e III, um do gênero do feminino, média de idade de sete anos, comparados a controles em igual número e gênero, média de idade de 6,8 anos;
- seis com DMC, três de cada gênero, média de idade de seis anos, comparados a controles em igual número e gênero, média de idade de 6,25 anos.

Grupo B - 16 pacientes de 8 a 12 anos de idade (respondido pelo próprio paciente):

- nove com AEP, um do gênero feminino e quatro do masculino, média de idade de 10,2 anos, comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 9,8 anos;
- sete com DMC, três do gênero masculino e quatro do feminino, média de idade de 9.83 anos, comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 9,3 anos.

Grupo C - 12 pacientes de 13 a 18 anos de idade:

- sete com AEP tipos II e III, cinco do gênero masculino e dois do feminino, média de idade de quatro anos, comparados a três controles do gênero masculino e quatro do gênero feminino, média de idade de 13,5 anos;
- cinco com DMC, um do gênero masculino e quatro do feminino, média de idade de 14,8 anos comparados a controles de igual número e gênero, média de idade de 13,3 anos.

5.1.4 Aplicação dos instrumentos FQoL e WHOQOL

O instrumento FQoL foi aplicado a 82 famílias divididas igualmente em grupos etários A de 5 a 7 (n=19), B de 8 a 10 (n=21), C de 11 a 13 (n=15) e D de 14 a 18 (n=16).

5.1.5 Crterios de excluso:

- idade inferior a cinco e superior a 18 anos para validao e aplicao dos instrumentos LSI-A, verses pais e paciente, e PedsQL DMD, verses pais e paciente;
- pacientes que no compareceram nos dias de agendamento ou que, por motivos diversos, tiveram o tratamento interrompido;
- pacientes com deficincia mental ou outra condio clnica que os impedissem de responder ao questionrio.

5.1.6 Validao e suas etapas

O processo de validao dos questionrios LSI-A e PedsQL DMD para a lngua portuguesa seguiu as seguintes etapas: 1) autorizao dos autores; 2) traduo inicial para o portugus; 3) adaptao cultural, conceitual, experimental e idiomtica em relao populao alvo; 4) retroverso; 5) comit de reviso; 6) pr-teste em dois momentos, e 7) validade e reprodutibilidade. O processo teve como base os crterios estabelecidos por: Guillemim et. al, 1993; Gandek & Ware, 1998; Pasqualli, 2000; Clark et al., 2003; Peters & Passchier 2006.

Houve adaptao quanto preferncia pela traduo no literal e a insero da tcnica Probe tambm entre as etapas 2 e 4, traduo e retroverso, respectivamente.

5.1.6.1 Etapa 1 - Autorização do autor

O processo de validação do questionário LSI-A para o português teve autorização prévia de Ted Myerscough, responsável pelo centro de pesquisa de Qualidade de Vida (Quality of Life Research Unit), Canadá. O autor James W. Varni responsável pelo centro de Qualidade de Vida Relacionada à Saúde, denominado PedsQL, situado nos Estados Unidos da América, autorizou a validação do questionário PedsQL 3.0 módulo Duchenne (PedsQL DMD), versão pais e versão paciente.

5.1.6.2 Etapa 2 - Tradução inicial para o português

O instrumento LSI-A versão paciente e o PedsQL DMD versão pais e versão paciente, foram traduzidos para o português por tradutor público juramentado (Anexos IV e V), e por tradutora especializada em língua inglesa (EB). O LSI-A versão pais, irá sofrer processo de elaboração somente na etapa 6, na qual a versão paciente, já ajustada cultural e semanticamente, passará por alterações pronominais, assumindo a configuração de versão pais.

5.1.6.3 Etapa 3 – Adaptação

Para esta etapa, procedeu-se à equivalência semântica, idiomática, experimental e conceitual em relação à população alvo, através da técnica Probe, com nível de

compreensão superior a 85%, conforme Guillemim et al., 1993, Pereira et al., 2007 e Bandeira et al., 2009.

A compreensão do LSI-A versão paciente foi avaliada mediante técnica Probe, através da aplicação do questionário a 60 crianças, em três momentos, sendo 20 em cada um deles, em processo contínuo de atualização das questões. O mesmo processo foi empregado ao questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente. De acordo com Clark et al., 2003, foi estipulada uma escala de compreensão de 1 a 5: 1 significou nenhuma compreensão; 2, pouca compreensão; 3, compreensão média; 4, compreensão quase total, e 5, compreensão total.

5.1.6.4 Etapa 4 – Retroversão

Após ter sido aplicada a técnica Probe, obtendo-se a compreensão dos questionários LSI-A versão paciente e PedsQL DMD versão pais e versão paciente, com as devidas adaptações, foi realizada a retroversão dos mesmos. Os instrumentos foram traduzidos do português para o inglês por tradutora de língua nativa dos Estados Unidos da América (EB) e posteriormente as resultantes traduções em inglês foram comparadas aos questionários originais, para verificar se houve discrepâncias.

5.1.6.5 Etapa 5 - Comitê de revisão

Uma vez comprovada a fidelidade dos questionários na comparação com os originais, estes foram avaliados por profissionais conhecedores de DNMs e QVRS: três

neuropediatras (MBDR, MG e TFB), uma pedagoga (FS) e uma fonoaudióloga (NB). Este Comitê de Revisão realizou adaptação do LSI-A versão Paciente (Anexos VI e VII), e do PedsQL Duchenne versão Pais e versão Paciente (Anexos VIII e IX).

5.1.6.6 Etapas 6 - Pré-teste em dois momentos

Primeiro momento: houve a reaplicação da técnica Probe com as alterações sugeridas pelo comitê de revisão. Em relação ao LSI-A versão paciente, este foi aplicado para dezoito crianças/adolescentes com DMD, AEP e DMC, para a obtenção do grau de compreensão satisfatório.

Somente a partir do nível de compreensão excelente do LSI-A versão paciente, o LSI-A versão pais (pacientes de 5 a 18 anos de idade) foi validado, com a adaptação pronominal para a respectiva versão. Este foi aplicado a dezoito cuidadores / um dos pais dos pacientes, para verificar o grau de compreensão.

O questionário PedsQL DMD também foi aplicado, neste primeiro momento, a 11 cuidadores / um dos pais dos pacientes com DMD em sua versão Pais e também para 11 pacientes na respectiva versão.

A tradução definitiva do questionário LSI-A versão Pais e versão Paciente está no Anexo X e XI. E a tradução definitiva do PedsQL DMD versão Pais versão Paciente está no Anexo XII e XIII.

Em um segundo momento, a aplicação dos instrumentos para validação foi definida conforme segue:

Em relação à aplicação do LSI-A versão pais e versão paciente com DNM, foram feitos:

- Teste de consistência interna para verificar a consistência das questões (teste *Alpha de Cronbach*), foi aplicado a 15 pais e 21 pacientes;
- Teste de consistência externa (*Correlação Linear de Pearson*) para verificar a confiabilidade e a validade interobservador, foi aplicado a 22 pais e a 32 pacientes;
- Teste de consistência externa (*Correlação Intraclass*) - reprodutibilidade em duas aplicações distintas (intervalo de 3 meses), foi aplicado a 05 pais e a 10 pacientes;
- Teste ROC para verificar a sensibilidade e a especificidade do questionário, foi aplicado a 15 pais e a 32 pacientes.

Em relação ao instrumento PedsQL Duchenne versão pais e versão paciente, foram realizados:

- Teste de consistência interna para analisar a consistência das questões (teste *Alpha de Cronbach*) aplicado a 21 pais e a 21 pacientes;
- Teste de consistência externa (*Correlação Linear de Pearson*) para analisar a confiabilidade, validade interobservador, foi aplicado a 22 pais e a 17 pacientes;
- Teste de consistência externa (*Correlação Intraclass*) - reprodutibilidade em duas aplicações distintas (intervalo de 3 meses), foi aplicado a 05 pais e a 10 pacientes;
- Teste ROC para analisar a sensibilidade e especificidade do questionário, foi aplicado a 35 pais e a 35 pacientes.

5.1.6.7 Etapa 7 - Confiabilidade, validade, reprodutibilidade, sensibilidade e especificidade

Esta etapa se configura na análise dos dados psicométricos mediante utilização de testes estatísticos apropriados, anteriormente citados.

5.1.7 Aplicação dos instrumentos LSI-A, PedsQL DMD, PedsQL NM, FQoL e WHOQOL: distribuição da amostra Caso e Controle

Conforme esquematização da Figura 1, a igual divisão de pacientes com DMD e Controle em grupos etários para aplicação do questionário LSI-A versão pais respondida por um dos pais de paciente com DMD do Grupo A e LSI-A versão paciente aos pacientes com DMD dos grupos B, C e D.

Figura1: Esquematização da divisão da amostra de pacientes com DMD e Controle para aplicação do questionário LSI-A versão paciente.

A seguir, a Figura 2 esquematiza a igual divisão de pacientes com AEP tipo II e III e Controle em quatro grupos etários para aplicação do questionário **LSI-A** versão paciente. A aplicação aos pais dos pacientes com AEP tipo II e III e do Controle se voltará ao Grupo A.

Figura 2: Esquematização da divisão da amostra de pacientes com AEP tipos II e III e Controle para aplicação do questionário LSI-A versão paciente.

De acordo com a Figura 3, há igual divisão de pacientes com DMC e Controle em grupos etários para aplicação do questionário **LSI-A** versão paciente. A aplicação aos pais dos pacientes com DMC e do Controle se voltará ao Grupo A.

Figura 3: Esquemática da divisão da amostra de pacientes com DMC e Controle para aplicação do questionário LSI-A versão paciente.

A seguir, a Figura 4 esquematiza a igual divisão da amostra de pacientes com DMD e Controle conforme aplicação do questionário **PedsQL DMD** versão pais.

Figura 4: Esquemática da divisão da amostra de paciente com DMD e amostra Controles para aplicação do questionário PedsQL versão pais.

A igual divisão da amostra de paciente com DMD e Controle conforme aplicação do questionário **PedsQL DMD** versão paciente, está esquematizada na Figura 5.

Figura 5: Esquematização da divisão da amostra paciente com DMD e amostra Controles para aplicação do questionário PedsQL versão paciente.

A seguir, a Figura 6 esquematiza a igual divisão da amostra de pacientes com AEP tipo II e III e Controle conforme aplicação do questionário **PedsQL NM**.

Figura 6: Esquematização da divisão das famílias da amostra de paciente com DNM e amostra controles para aplicação do questionário PedsQL NM.

A seguir, a Figura 7 esquematiza a igual divisão da amostra de pacientes com DMC e Controle conforme aplicação do questionário **PedsQL NM**.

Figura 7: Esquematização da divisão das famílias da amostra de paciente com DMC e amostra Controles para aplicação do questionário DNM.

A seguir, a Figura 8 esquematiza a igual divisão das 82 famílias da amostra de pacientes com DNM e Controle conforme aplicação do questionário **FQoL**.

Figura 8: Esquematização da divisão das famílias da amostra de paciente com DNM e amostra controles para aplicação do questionário FQoL.

5.1.8 Cálculo da Amostra para aplicação do LSI-A e o PedsQL Duchenne

O n da amostra, calculado pelo Laboratório de Epidemiologia e Estatística – LEE do Instituto Dante Pazzanese de Cardiologia, considerando 20% de possíveis perdas, foi:

- a. LSI-A - 56 sujeitos, porém a amostra alcançada foi de 82.
- b. PedsQL DMD pais e paciente - 41 sujeitos, porém a amostra foi de 43.
- c. PedsQL NM pais e paciente - 41 sujeitos, porém a amostra foi de 43.

Considerou-se: proporção de expostos entre os casos com DMD, AEP e DMC de 5% e com DMD de 7%; ODDS RATIO de 15.800:1 no caso de DNM e 3500:1 para DMD; poder do teste de 95%, e nível de significância (erro tipo I) de ocorrência ao acaso de 5% (Apêndice IV).

5.1.9 Procedimento de aplicação dos questionários

Nas consultas médicas de rotina, os questionários LSI-A e PedsQL foram aplicados durante um tempo médio de 7 e 4 minutos respectivamente, tanto aos pacientes quanto ao cuidador / um dos pais. Os questionários WHOQOL e FQoL, com duração de 4 minutos cada, foram aplicados somente às mães/cuidadoras. Houve treinamento prévio dos entrevistadores para as aplicações.

Referente ao grupo Controle, os questionários foram respondidos de forma indireta pelo cuidador / um dos pais de aluno da escola EMEF Presidente Professor João Pinheiro (Vila Matilde, São Paulo /SP), com autorização prévia da direção da escola (Anexo III). Os pais tiveram prazo de um mês para respondê-los e devolvê-los através dos filhos. Em dia estipulado, foram recolhidos os questionários nas salas de aula da escola.

Em relação à confiabilidade da aplicação dos questionários LSI-A e PedsQL DMD, foi avaliada a concordância interobservadores, ultrapassando o mínimo de 30% do total de pacientes envolvidos na pesquisa, conforme Shrout, 1979; Streiner & Norman, 1989.

5.2 Análise estatística dos dados da validação e da aplicação dos questionários

5.2.1 Validação

No procedimento de validação de ambos os questionários, para cálculo estatístico de confiabilidade da consistência interna e para confiabilidade dos itens, utilizou-se o teste *Coeficiente Alpha de Cronbach*. A confiabilidade foi classificada em: muito baixa ($\alpha \leq 0,30$), baixa (α entre 0,30 e 0,60), moderada (α entre 0,60 e 0,75), alta (α de 0,75 a 0,90) e muito alta (α acima de 0,90), sendo considerados satisfatórios valores de α acima de 0,70 (Cronbach, 2004).

Para o cálculo da consistência externa foi realizada a análise da confiabilidade através do teste *Correlação Linear de Pearson*, com representação gráfica em desenho esquemático Diagrama de Dispersão Pontual *Dot splot*. O teste Pearson, quanto à

confiabilidade de associação entre as variáveis, mostra valores entre -1 e 1, sendo esta mais consistente quanto mais distante de zero. Os valores são os mesmos do teste de Cronbach.

Para o cálculo da consistência externa, foi realizada a análise da reprodutibilidade do teste-reteste intraobservador, através do teste *Correlação Linear de Pearson*, com representação gráfica em desenho esquemático Diagrama de Dispersão Pontual *Dot plot*. O teste Pearson, quanto à confiabilidade de associação entre as variáveis, assume grau e direção entre -1 e 1, que é mais forte quanto mais distante de zero. Suas fases classificatórias são as mesmas das do Cronbach.

O *Receiver Operating Characteristic Curve* ROC serve para avaliar a sensibilidade e especificidade do instrumento e indicar o melhor ponto de corte, variável a cada questionário. A sensibilidade deve tender ao valor 1, enquanto a especificidade a 0. A classificação segue os critérios dos testes anteriormente citados. Graficamente, representa-se no eixo das ordenadas (Y) a sensibilidade e no eixo das abscissas (X) a proporção de especificidade (falso positivo). A linha 'd' na curva indica proximidade ao *padrão ouro* (Sensibilidade = 1 e Especificidade = 0). Quando $d=0,20$ é mais baixa a distância do padrão ouro; $d = 0,50$ é considerada distância moderada e $d=0,80$ é considerada distância alta. A *Area Under Curve* ROC (AUC) representa o exato intervalo de confiança sob a curva.

ROC é um método gráfico para avaliação, organização e seleção de sistemas de diagnóstico e/ou predição. Utilizou-se SPSS Statistics, versão 22, para o teste Alfa de Cronbach e o pacote BioStat, versão 5.3, para o teste Pearson, para o teste ROC, e para os gráficos Diagrama de Dispersão Pontual *Dot plot*.

5.2.2 Aplicação

Os resultados decorrentes da comparação das amostras do questionário LSI-A e PedsQL nos pacientes e controles foram calculados estatisticamente mediante utilização do *teste Mann Whitney*. Para variância entre as amostras pais e filhos foi utilizado o *teste Friedman* e o *teste Dunn*. Os valores são estatisticamente significantes quando $p \leq 0,05$. A representação gráfica dos *testes Mann Whitney, Friedman* se deu através de desenho esquemático Box – Plot.

Utilizou-se o pacote BioStat, versão 5.3, para: análise estatística descritiva, *teste Mann Whitney* e gráfico Box – Plot.

6.1 Características das Amostras

As amostras foram constituídas por 43 pacientes com DMD, 21 com AEP (5 do tipo II e 16 do tipo III) e 18 com DMC, acompanhados no ambulatório de Doenças Neuromusculares em crianças do HCFMUSP. Dois dos pacientes que fizeram parte da validação não puderam estar presentes para a aplicação, por isso na validação houve $n=84$. As mostras de pacientes foram caracterizadas conforme média de idade, condição física, diagnóstico, duração do tratamento de reabilitação mediante atendimento multiprofissional (Fisioterapia e Terapia Ocupacional).

6.1.1 Idade

A amostra de pacientes com DMD apresentou média de idade de 11.11 anos, a de AEP de 10.52 e a de DMC, 10.11 anos. Houve proximidade de idade entre as diferentes amostras de pacientes, conforme está na Tabela 1.

Tabela 1: Média de idade das amostras de pacientes com DMD, AEP e DMC.

Amostra	Média idade
DMD	11,11 anos
AEP	10,52 anos
DMC	10,11 anos

6.1.2 Condição Física

A Tabela 2 expõe a condição de cadeirante ou deambulante nas amostras de pacientes com DMD, AEP e DMC.

Tabela 2. Utilização ou não da cadeira de rodas pelo pacientes das amostras de DMD, AEP e DMC.

Amostra	Cadeirantes	Deambulantes
DMD	15	28
AEP	14	7
DMC	8	10

6.1.3 Diagnóstico

A Tabela 3 indica a idade dos pacientes das diferentes amostras por ocasião da realização do diagnóstico.

Tabela 3. Características das amostras de pacientes com DMD, AEP e DMC quanto à idade em anos por ocasião do diagnóstico.

Idade / diagnóstico	DMD	AEP	DMC
n	43	21	18
Mínimo	1.5000	2.1600	1.1600
Máximo	13.0800	11.4100	10.2500
Mediana	6.9100	4.5000	3.7050
Média	7.1944	5.2295	4.9317
Desvio Padrão	2.4947	2.6256	3.3639

6.1.4 Fisioterapia e Terapia Ocupacional

Na Tabela 4, é exposta a média, em anos, de duração do tratamento de reabilitação (Fisioterapia e Terapia Ocupacional) a que foram submetidos os pacientes das amostras de DMD, AEP e DMC.

Tabela 4. Duração em anos de tratamento multiprofissional de reabilitação (Fisioterapia e Terapia Ocupacional) a que foram submetidos os pacientes das amostras com DMD, AEP e DMC.

Tempo de Tratamento	DMD	AEP	DMC
Tamanho da amostra	43	21	18
Mínimo	0.5800	3.0000	0.0000
Máximo	10.4100	13.4100	13.0000
Mediana	3.0000	8.5800	4.8300
Média	3.7744	8.0529	4.9900
Desvio Padrão	2.7066	3.2827	3.6692

A Tabela 5 mostra a média de sessões semanais de reabilitação (Fisioterapia e Terapia Ocupacional) a que foram submetidos os pacientes das amostras com DMD, AEP e DMC.

Tabela 5: Quantidade de sessões semanais de Fisioterapia e Terapia Ocupacional pelas Amostras DMD, AEP e DMC.

Sessões semanais	DMD	AEP	DMC
Fisioterapia motora	1.8	2.15	2.05
Fisioterapia respiratória	1.15	0.1	0.16
Fisioterapia aquática	0.1	1.7	1.27
Terapia Ocupacional	0.1	0.23	0.5
Total semanal	3.15	4.18	3.98

6.2 Validação LSI-A e PedsQL DMD

6.2.1 Probe – teste de compreensão

As traduções dos questionários LSI-A e PedsQL para o português, feitas por tradutora especializada em língua inglesa (EB) e por tradutor juramentado, foram comparadas e avaliadas analiticamente para verificar a confiabilidade. A primeira tradução primou pela sincronização cultural, enquanto a tradução juramentada caracterizou-se pela literalidade. Considerou-se mais adequada ao processo de validação a tradução mais cultural (EB).

Quanto à aplicação da técnica Probe, a fim de estabelecer o nível de compreensão da população atendida, o ponto de corte da compreensão é de 85% para a variável *Totalmente compreendido*, sendo que, nos questionários em questão, tanto na primeira quanto na segunda fase da aplicação, os níveis de compreensão não atingiram o limite de 85%, ideal à validação. Foi necessária, então uma terceira fase, na qual os níveis de compreensão, para o LSI-A versão paciente e para o PedsQL DMD versão pais e versão paciente ultrapassaram o esperado, conforme se observa na Tabelas 6 e 7, a seguir. A aplicação da técnica Probe ao questionário LSI-A versão pais ocorreu na etapa seis, na qual, após a versão paciente ter sido adaptada e compreendida, ocorreu a adequação pronominal para se estabelecer a versão pais (de: “Muitas vezes eu me sento mal”, para: “Muitas vezes se sente mal”).

Tabela 6. Percentagens de compreensão do questionário LSI-A versão paciente, resultantes da aplicação da técnica Probe I, II e III.

LSI-A versão pacientes			
Compreensão	Probe I – n=20	Probe II – n=20	Probe III – n=20
Totalmente	67%	75%	90%
Muito	22%	20%	10%
Razoavelmente	11%	5%	0.00%
Pouco	0.00%	0.00%	0.00%
Nada	0.00%	0.00%	0.00%

Tabela 7. Percentagens de compreensão do questionário PesdQL DMD, resultantes da aplicação da técnica Probe I, II e III.

PesdQL DMD versão paciente			
Compreensão	Probe I – n=20	Probe II – n=20	Probe III – n=20
Totalmente	69%	79%	93%
Muito	22%	19%	7%
Razoavelmente	9%	2%	0.00%
Pouco	0.00%	00%	0.00%
Nada	0.00%	0.00%	0.00%

PedsQL DMD versão pais			
Compreensão	Probe I – n=20	Probe II – n=20	Probe III – n=20
Totalmente	73%	84%	95%
Muito	24%	15%	5%
Razoavelmente	3%	1%	0.00%
Pouco	0.00%	00%	0.00%
Nada	0.00%	0.00%	0.00%

6.2.2 Pré-teste em dois momentos

No primeiro momento da etapa 6 – Probe final – os questionários LSI-A e PedsQL DMD foram novamente submetidos à técnica Probe com 18 cuidadores / um dos pais para o primeiro questionário e 11 cuidadores / um dos pais e pacientes para o segundo, a fim de conferir o nível de compreensão após a retroversão na etapa 4 e as alterações sugeridas pelo comitê de revisão na etapa 5.

Para o LSI-A versão pais e versão pacientes, o resultado foi, respectivamente, de 97% e 95%, de compreensão, graduação “totalmente” e “muita compreensão”, ultrapassando o mínimo exigido de 85%. Para o PedsQL DMD versão pais e versão pacientes, o resultado foi, respectivamente de 99% e 97%, graduação “quase total e “muita compreensão”“.

No segundo momento, os instrumentos LSI-A versão pais e versão paciente e PedsQL versão pais e versão paciente foram aplicados a 82 pacientes com DMD, AEP tipo II e III ou DMC.

6.2.2.1 Confiabilidade, Validade e Reprodutibilidade

6.2.2.1.1 Descrição Quantitativa

As variáveis dos escores em cada um dos domínios do LSI-A (Tabela 8) e do escore geral do PedsQL Duchenne (Tabela 9) das amostras intra e interobservadores são apresentadas em descrição quantitativa. Notou-se média aritmética bastante aproximada entre as variáveis de ambos os questionários.

Tabela 8. Descrição quantitativa das variáveis dos domínios do LSI-A coletadas por intra e interobservadores nas Amostras Caso de DMN (DMD, AEP, DMC).

Domínios	Bem Estar Geral		Relac. Interpessoal		Desenvolv. Pessoal		Realização Pessoal		Lazer e Recreação	
LSI-A	Intraobserv.	Interobsev.	Intraobserv.	Interobsev.	Intraobserv.	Interobsev.	Intraobserv.	Interobsev.	Intraobserv.	Interobsev.
Tamanho da amostra =	32	32	32	32	32	32	32	32	32	32
Mínimo	25	25	27	28	27	28	30	31	26	27
Máximo	31	31	40	42	42	42	41	41	40	41
Amplitude Total	6	6	13	14	15	14	11	10	14	14
Mediana	29	29	39	39	39	39	35	36	37	37.5
Primeiro Quartil (25%)	28	28	37	37	37.75	37.75	32	33.75	35	35
Terceiro Quartil (75%)	29.25	30	40	40	40	40	38	38	38.25	39
Desvio Interquartilico	1.25	2	3	3	2.25	2.25	6	4.25	3.25	4
Média Aritmética	28.6875	29.0313	37.5625	38.0313	38.125	38.5313	35.375	35.8438	36.2813	36.7188
Variância	2.2218	1.5796	10.7702	9.4506	9.4032	8.9022	10.629	8.7813	9.5635	9.7571
Desvio Padrão	1.4906	1.2568	3.2818	3.0742	3.0665	2.9837	3.2602	2.9633	3.0925	3.1236
Erro Padrão	0.2635	0.2222	0.5801	0.5434	0.5421	0.5274	0.5763	0.5238	0.5467	0.5522
Coefficiente de Variação	5.20%	4.33%	8.74%	8.08%	8.04%	7.74%	9.22%	8.27%	8.52%	8.51%
Assimetria (g1)	-0.4826	-1.1021	-1.9383	-1.7794	-1.8083	-1.7743	-0.1314	-0.0916	-1.3983	-1.2183

Tabela 9. Descrição quantitativa das variáveis do PedsQL Duchenne coletadas por intra e interobservador nas Amostras Caso de DMD.

Amostras ►	Amostra País Caso	Amostra País Controle	Amostra Caso	Amostra Controle
Tamanho da amostra	39	39	39	39
Mínimo	43	41	43	41
Máximo	95	97	95	97
Amplitude Total	52	56	52	56
Mediana	77	79	77	79
Primeiro Quartil (25%)	58	60	58	60
Terceiro Quartil (75%)	85.5	87.5	85.5	87.5
Desvio Interquartilico	27.5	27.5	27.5	27.5
Média Aritmética	74.1282	75.1282	74.1282	75.1282
Variância	262.0621	258.1673	262.0621	258.1673
Desvio Padrão	16.1883	16.0676	16.1883	16.0676
Erro Padrão	2.5922	2.5729	2.5922	2.5729
Coefficiente de Variação	21.84%	21.39%	21.84%	21.39%
Assimetria (g1)	-0.4551	-0.5741	-0.4551	-0.5741

6.2.2.2 Consistência interna ou confiabilidade dos itens

6.2.2.2.1 Questionário LSI-A versão pais e versão pacientes em validação

O resultado estatístico obtido com o *Teste Alpha de Cronbach* para a consistência interna das questões do instrumento LSI-A versão pais e versão pacientes com DMD, AEP e DMC foi alto, em todos os domínios, conforme ilustrado nas Tabelas 10 e 11.

Tabela 10. Coeficiente de confiabilidade obtido mediante aplicação do teste Alfa de Cronbach aos itens dos domínios do questionário LSI-A versão pais e versão pacientes.

Domínios ►	Bem Estar Geral	Relacionamento Interpessoal	Desenvolvimento Pessoal	Realização Pessoal	Lazer e Recreação	Geral
Versão	Pais					
n	15	15	15	15	15	15
Itens	9	9	9	9	9	45
Cronbach	0.65	0.65	0.65	0.71	0.78	0.87

Domínios ►	Bem Estar Geral	Relacionamento Interpessoal	Desenvolvimento Pessoal	Realização Pessoal	Lazer e Recreação	Geral
Versão	Paciente					
n	21	21	21	21	21	21
Itens	9	9	9	9	9	45
Cronbach	0.75	0.73	0.78	0.70	0.80	0,895

6.2.2.2.2 PedsQL DMD versão pais e versão pacientes em validação

A aplicação do Teste *Alpha de Cronbach* aos itens do questionário PedsQL

DMD mostrou escore geral alto, conforme apresentado na Tabela 11.

Tabela 11. Coeficiente de confiabilidade mediante utilização do teste Alfa de Cronbach ao questionário PedsQL DMD versão pais e versão pacientes.

Domínios ►	Atividades Diárias	Tratamento	Preocupação	Comunicação	Geral
Versão	Pais				
n	21	21	21	21	21
Itens	5	4	6	3	18
Cronbach	0.82	0.89	0.80	0.87	0.87
Domínios ►	Atividades Diárias	Tratamento	Preocupação	Comunicação	Geral
Versão	Pacientes				
n	21	21	21	21	21
Itens	5	4	6	3	18
Cronbach	0.75	0.77	0.78	0.79	0,84

6.2.2.3 Consistência externa ou confiabilidade interobservador

6.2.2.3.1 LSI-A versões pais em validação

Teste de Correlação Linear de Pearson - os seguintes valores *r* foram obtidos:

no escore geral do LSI-A versão pais (n=22), *r* de 0.9841; no domínio *Bem Estar Geral*, *r* de 0.897, no domínio *Relacionamento Interpessoal*, *r* de 0.9688; no domínio *Desenvolvimento Pessoal*, *r* de 0.9381. no domínio *Realização Pessoal*, *r* de 0.9849 e

no domínio *Lazer e recreação*, r de 0.9654. O IC de 95% sinalizou forte magnitude de relação entre as variáveis paciente e interobservador em todos os domínios, o que garante a validade do instrumento. O valor de $p < 0.0001$ foi altamente significativo. Portanto, houve poder de teste pleno, conforme pode ser observado nas Tabelas 12 e 13 e nos Gráficos de 1 a 6.

Tabela 12. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário LSI-A aplicado a pais e interobservador.

Pearson	Pais
n	22
R	0.9841
IC 95%	0.97 a 0.99
R2	0.9684
GL	30
p	< 0.0001
Poder 0.05	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R^2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significativo e Poder de teste.

Gráfico 1: Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no escore geral aplicado aos 22 pais por interobservador.

Tabela 13. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário LSI-A aplicado a pais por interobservador.

Domínios (LSI-A)	Bem Estar Geral	Relacionamento Interpessoal	Desenvolvimento Pessoal	Realização Pessoal	Lazer e Recreação
n	22	22	22	22	22
r	0.897	0.9688	0.9381	0.9849	0.9654
IC 95%	0.76 a 0.96	0.93 a 0.99	0.85 a 0.97	0.96 a 0.99	0.92 a 0.99
R2	0.8046	0.9386	0.8801	0.97	0.9321
GL	20	20	20	20	20
p	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001
Poder 0.05	1	1	1	1	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significante e Poder de teste.

Gráfico 2. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Bem Estar Geral aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.

Gráfico 3. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Relacionamento Interpessoal aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por intraobservador.

Gráfico 4. Teste Pearson na avaliação da confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Desenvolvimento pessoal aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.

Gráfico 5. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Realização Pessoal aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.

Gráfico 6. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio Lazer e Recreação aplicado aos 22 pais das Amostras de DNM por interobservador.

6.2.2.3.2 LSI-A versão paciente em validação

Na versão paciente (n=32), o coeficiente de correlação linear apresentou os seguintes valores de r : escore geral, 0.9778; no domínio *Bem Estar Geral*, 0.8491; no domínio *Relacionamento Interpessoal*, 0.9638; no domínio *Desenvolvimento Pessoal*, 0.9656; no domínio *Realização Pessoal*, 0.9779 e no domínio *Lazer e recreação*, 0.9802. O IC de 95% sinalizou forte magnitude de relação entre as variáveis paciente e interobservador em todos os domínios, o que garante a validade do instrumento. O valor de $p < 0.0001$ foi altamente significativo. Portanto, houve poder de teste pleno, conforme pode ser observado nas Tabelas 14 e 15 e nos Gráficos de 7 a 12.

Tabela 14. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário LSI-A aplicado aos pacientes das Amostras de DNM por interobservador.

Pearson	Pais
n	32
r	0.9778
IC 95%	0.97 a 0.98
R2	0.9561
GL	118
p	< 0.0001
Poder 0.05 =	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significativo e Poder de teste.

Gráfico 7. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no escore geral aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.

Tabela 15. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário LSI-A aplicado a 32 pacientes das amostras de DNM por interobservador.

Domínios (LSI-A)	Bem Geral	Estar	Relacionamento Interpessoal	Desenvolvimento Pessoal	Realização Pessoal	Lazer e Recreação
n		32	32	32	32	32
r		0.8491	0.9638	0.9656	0.9779	0.9802
IC 95%		0.71 a 0.92	0.93 a 0.98	0.93 a 0.98	0.95 a 0.99	0.96 a 0.99
R2		0.721	0.9289	0.9324	0.9563	0.9608
GL		30	30	30	30	30
p		< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001
Poder 0.05		1	1	1	1	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significante e Poder de teste.

Gráfico 8. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio *Bem Estar Geral* aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.

Gráfico 9. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio *Relacionamento Interpessoal* aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.

Gráfico 10. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio *Desenvolvimento Pessoal* aplicado a 32 pacientes das Amostras com DNM por interobservador.

Gráfico 11. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio *Realização Pessoal* aplicado a 32 pacientes das Amostras com DNM por interobservador.

Gráfico 12. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do questionário LSI-A no domínio *Lazer e Recreação* aplicado a 32 pacientes das Amostras de DNM por interobservador.

6.2.2.3.3 PedsQL DMD versão pais em validação

Em relação às respostas ao questionário PedsQL Duchenne versão pais (n=22), o *Teste Pearson* mostrou: 0.9913 no escore geral, 0.964 no domínio *Atividades diárias*; 0.9565 no domínio *Tratamento*; 0.9837 no domínio, *Preocupação*; 0.9624 no domínio *Comunicação*. O IC de 95%, sinalizou correlação muito forte entre as variáveis

interobservadores, o que garante a validade do instrumento. O valor de $p < 0.0001$ é altamente significativo. Houve poder de teste total, conforme ilustram as Tabelas 16 e 17 e os Gráficos 13 a 17.

Tabela 16. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário PedsQL Duchenne, aplicação por interobservador à Amostra Pais.

Pearson	Pais
n (pares)	22
r	0.9913
IC 95%	0.98 a 1.00
R2	0.9827
GL	45
p	< 0.0001
Poder 0.05	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significativo e Poder de teste.

Gráfico 13. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do escore geral do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador

Tabela 17. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário PedsQL Duchenne, aplicação por interobservador à Amostra Pais.

	Atividades			
Pearson - Pais	Diárias	Tratamento	Preocupação	Comunicação
n (pares)	22	22	22	22
r (Pearson)	0.964	0.9565	0.9837	0.9624
IC 95%	0.91 a 0.99	0.90 a 0.98	0.96 a 0.99	0.91 a 0.98
R2	0.9292	0.915	0.9677	0.9262
GL	20	20	20	20
p	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001
Poder 0.05	1	1	1	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significante e Poder de teste.

Gráfico 14. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Atividades Diárias* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Gráfico 15. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Tratamento* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Gráfico 16. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Preocupação* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Gráfico 17. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Comunicação* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 22 pais da Amostra Caso de DMD por interobservador.

6.2.2.3.4 PedsQL DMD versão paciente em validação

Em relação às respostas ao questionário PedsQL DMD versão paciente (n=17), os coeficientes de correlação linear foram os seguintes: 0.9934 no escore geral; 0.9857 no domínio *Atividades diárias*; r de 0.9754 no domínio *Tratamento*; 0.9688 no domínio

Preocupação, e 0.8289 no domínio *Comunicação*. O IC encontrado de 95%, sinalizou correlação muito forte entre as variáveis interobservadores, o que garante a validade do instrumento. O valor de $p < 0.0001$ é altamente significativo. Houve poder de teste total, conforme ilustram as Tabelas 18 e 19 e os Gráficos 18 a 22.

Tabela 18. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação ao escore geral do questionário PedsQL DMD, aplicação interobservador à Amostra Caso de DMD.

Pearson	Amostra Caso
n (pares)	17
r	0.9934
IC 95%	0.99 a 1.00
R2	0.9869
GL	37
p	< 0.0001
Poder 0.05	1

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significante e Poder de teste.

Gráfico 18. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do escore geral do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Tabela 19. Coeficiente de Correlação Linear de Pearson em relação aos domínios do questionário PedsQL Duchenne, aplicação interobservador à Amostra Caso de DMD.

Pearson - Paciente	Atividades diárias	Tratamento	Preocupação	Comunicação
n	17	17	17	17
r	0.9857	0.9754	0.9843	0.8289
IC 95%	0.96 a 0.99	0.93 a 0.99	0.96 a 0.99	0.58 a 0.94
R2	0.9715	0.9514	0.9688	0.6871
GL	15	15	15	15
p	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001
Poder 0.05	1	1	1	0.9973

r – coeficiente de relação linear de Pearson, IC - intervalo de confiança, R2 – Coeficiente de determinação, GL - Graus de liberdade, p – significante e Poder de teste.

Gráfico 19. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Atividades Diárias* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Gráfico 20. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Tratamento* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Gráfico 21. Teste Pearson na avaliação da confiabilidade do domínio *Preocupação* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.

Gráfico 22. Teste Pearson na avaliação de confiabilidade do domínio *Comunicação* do questionário PedsQL Duchenne aplicado a 17 pacientes da Amostra Caso de DMD por interobservador.

6.2.2.4 Quanto à consistência externa ou reprodutibilidade

6.2.2.4.1 LSI-A versão pais em validação

Os dados da reprodutibilidade deste questionário foram avaliados a partir da perspectiva teste e reteste e sinalizaram satisfatória reprodutibilidade. O questionário LSI-A foi aplicado duas vezes aos pais dos pacientes com DNM (n=5): inicialmente e após 3 meses. Obtiveram-se os seguintes valores de teste de Correlação Intraclass – CIC: no domínio *Bem Estar Geral* 0.5949; no domínio *Relacionamento Interpessoal*, 0.5872; no domínio *Desenvolvimento Pessoal*, 0.4679; no domínio *Realização Pessoal*, 0.5612; e no domínio *Lazer e Recreação* 0.6945, conforme Tabela 20.

Tabela 20. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário LSI-A versão pais (n=05) avaliadas em duas vezes distintas.

CIC	Bem Estar Geral	Relac Interpessoal	Desenvol Pessoal	Realização Pessoal	Lazer e Recreação
n	10	10	10	10	10
Variância	0.0052	0.0010	0.0024	0.0062	0.0089
Erro	0.0013	0.0003	0.0009	0.0017	0.0016
F	3.9366	3.8449	2.7586	3.5577	5.5472
p	0.0833	0.0867	0.1479	0.0988	0.0451
CIC	0.5949	0.5872	0.4679	0.5612	0.6945
Conclusão	RM	RM	RM	RM	RM

p – significante e Poder de teste, F=Fleiss, RE=Replicabilidade excelente, RM=Replicabilidade média a boa. Relac. Interpessoal= Relacionamento Interpessoal; Desenvol. Pessoal= Desenvolvimento Pessoal.

6.2.2.4.2 LSI-A versão paciente em validação

Os dados da reprodutibilidade deste questionário foram avaliados a partir da perspectiva teste e reteste e sinalizaram satisfatória reprodutibilidade. O questionário LSI-A foi aplicado duas vezes aos pacientes com DNM (n=10): inicialmente e após 3 meses. Obtiveram-se os seguintes valores de teste de Correlação Intraclassa – CIC: no domínio *Bem Estar Geral* 0.7807; no domínio *Relacionamento Interpessoal*, 0.5838; no domínio *Desenvolvimento Pessoal*, 0.7276; no domínio *Realização Pessoal*, 0.6788; e no domínio *Lazer e Recreação* 0.8046, conforme Tabela 21.

Tabela 21. Teste de Correlação Intraclassa das variáveis dos domínios do questionário LSI-A versão paciente (n=10) avaliadas em duas vezes distintas.

CIC	Bem Estar Geral	Relac Interpessoal	Desenvol Pessoal	Realização Pessoal	Lazer e Recreação
n	10	10	10	10	10
Variância	0.0008	0.0011	0.0055	0.0042	0.0042
Erro	0.0126	0.0003	0.0009	0.0008	0.0005
F	8.1189	3.8052	6.3433	5.2274	9.2378
p	0.0019	0.0246	0.0045	0.0086	0.0013
CIC	0.7807	0.5838	0.7276	0.6788	0.8046
Conclusão	RE	RM	RM	RM	RE

p – significante e Poder de teste, F=Fleiss, RE=Replicabilidade excelente, RM=Replicabilidade média a boa.

6.2.2.4.3 PedsQL DMD versão pais em validação

Os dados da reprodutibilidade deste questionário foram avaliados a partir da perspectiva de teste e reteste e sinalizaram satisfatória reprodutibilidade. O questionário PedsQL foi aplicado duas vezes aos pais (n= 5) de paciente com DMD: inicialmente e após 3 meses. Obtiveram-se os seguintes valores de teste de Correlação Intraclass – CIC: domínios *Atividades Diárias*, 0.9355; *Tratamento*, 0.9448; *Preocupação*, 0.6000; e *Comunicação*, 0.5534; conforme Tabela 22.

Tabela 22. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário PedsQL DMD versão pais e paciente avaliadas em duas vezes distintas.

Domínios	Atividades			
	Diárias	Tratamento	Preocupação	Comunicação
n	05	05	05	05
Variância	0.0552	0.0365	0.0011	0.0024
Erro	0.0018	0.0010	0.0003	0.0007
F	30.0234	35.2518	4.0000	3.4781
P	0.0020	0.0016	0.0810	0.1025
CIC	0.9355	0.9448	0.6000	0.5534
Conclusão	RE	RE	RM	RM

IC - intervalo de confiança, *p* – significante e Poder de teste, F=Fleiss, RE=Replicabilidade excelente, RM=Replicabilidade média a boa.

6.2.2.4.4 PedsQL DMD versão paciente em validação

Os dados da reprodutibilidade deste questionário foram avaliados a partir da perspectiva de teste e reteste e sinalizaram satisfatória reprodutibilidade. O questionário PedsQL foi aplicado duas vezes aos pacientes com DMD (n= 10): inicialmente e após 3 meses. Obteve-se os seguintes valores de teste de Correlação Intraclass – CIC:

domínios *Atividades Diárias*, 0.7844; *Tratamento*, 0.7100; *Preocupação*, 0.8338; e *Comunicação*, 0.9550; conforme Tabela 23.

Tabela 23. Teste de Correlação Intraclass das variáveis dos domínios do questionário PedsQL DMD versão paciente (n=10) avaliadas em duas vezes distintas.

Domínios	Atividades			
	Diárias	Tratamento	Preocupação	Comunicação
n	10	10	10	10
Variância	0.0647	0.0146	0.0227	0.0438
Erro	0.0078	0.0025	0.0021	0.0044
F	8.2762	5.8972	11.0309	9.8696
P	0.0018	0.0057	0.0007	0.0010
CIC	0.7844	0.7100	0.8338	0.8160
Conclusão	RE	RM	RE	RE

IC - intervalo de confiança, *p* – significante e Poder de teste, F=Fleiss, RE=Replicabilidade excelente

6.2.2.5 Quanto à sensibilidade e à especificidade

6.2.2.5.1 LSI-A versões pais e paciente em validação

O emprego do teste *Receiver Operating Characteristic Curve* ROC:, nos resultados da aplicação do questionário LSI-A versão pais (n=15) evidenciou: no escore geral, sensibilidade 0.78, especificidade 0.5 e acurácia 69.44%; no domínio *Bem Estar Geral*, sensibilidade 0.727, especificidade 0.682, ponto de corte 28 e acurácia 70.45%; no domínio *Relacionamento Interpessoal*, sensibilidade 0.56, especificidade 0.68, ponto de corte 38 e acurácia 62.55%; no domínio *Desenvolvimento Pessoal*, sensibilidade 0.86, especificidade 0.68, ponto de corte 39 e acurácia 77%; na domínio *Realização Pessoal*, sensibilidade 0.59, especificidade 0.77, ponto de corte 35 e acurácia 68%; no domínio *Lazer e Recreação*, sensibilidade 0.59, especificidade 0.773 ponto de corte 37

e acurácia 68.15%. O IC foi de 95%. A curva, em todos os domínios, permaneceu acima da linha central, sinalizando boa sensibilidade, especificidade e acurácia (Tabela 24 e Gráficos 23 a 27).

Tabela 24. Aplicação do teste ROC aos resultados do escore geral e dos domínios do questionário LSI-A versão pais.

Domínios	BEG	RI	DP	RP	LR-	G
Sensibilidade	0.727	0.56	0.86	0.59	0.59	0.78
Especificidade	0.682	0.68	0.68	0.77	0.773	0.5
Probabilidade Prior	0.5	0.5	0.5	0.5	0.5	0.5
Likelihood Ratio Positivo	2.29	1.8	2.69	2.57	2.6	1.56
Probabilidade Posterior Positivo	69.57%	64.30%	72.88%	71.95%	72.22%	60.94%
Valor Preditivo Positivo	69.57%	64.30%	72.88%	71.95%	72.22%	60.94%
Likelihood Ratio Negativo	0.4	0.64	0.21	0.53	0.53	0.44
Probabilidade Posterior Negativo	28.59%	38.84%	17.07%	34.75%	34.66%	30.56%
Valor Preditivo Negativo	71.41%	61.16%	82.93%	65.25%	65.34%	69.44%
Ponto de Corte	28	38	39	35	37	37.00%
Distância	0.419	0.538	0.34	0.46	0.468	46.00%
Acurácia	70.45%	62.55%	77.00%	68.00%	68.15%	64.00%

BEG= Bem Estar Geral; RI=Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; LR= Lazer e Recreação; Geral= Geral.

Gráfico 23. Representação da Curva de ROC do escore Geral do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.

Gráfico 24. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Bem Estar Geral* do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.

Gráfico 25. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Relacionamento Interpessoal* do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.

Gráfico 26. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Desenvolvimento Pessoal* do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.

Gráfico 27: Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Realização Pessoal* do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.

Gráfico 28. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Lazer e Recreação* do questionário LSI-A aplicado a 15 pais da Amostra Caso de DNM e Controle.

6.2.2.5.2 LSI-A versão paciente em validação

O emprego do teste *Receiver Operating Characteristic Curve* ROC nos resultados da aplicação do LSI-A versão pacientes (n=32) evidenciou: no escore geral, sensibilidade 0.719, especificidade 0.688, acurácia 70.35%; no domínio *Bem Estar Geral*, sensibilidade 0.719, especificidade 0.594, ponto de corte 28 e acurácia 65.65%; no domínio *Relacionamento Interpessoal*, sensibilidade 0.563, especificidade 0.688, ponto de corte 38 e acurácia 62.55%; no domínio *Desenvolvimento Pessoal*, sensibilidade 0.68, especificidade 0.625, ponto de corte 39 e acurácia 65.65%; no domínio *Realização Pessoal*, sensibilidade 0.531, especificidade 0.656, ponto de corte 35 e acurácia 59.35%; no domínio *Lazer e Recreação*, sensibilidade 0.594, especificidade 0.594, ponto de corte 37 e acurácia 59.4%. O IC foi de 95%. A curva, em todos os domínios, permaneceu acima da linha central, sinalizando boa sensibilidade, especificidade e acurácia em todos os domínios (Tabela 25 e Gráficos 28 a 32).

Tabela 25. Teste ROC aos resultados do escore geral e dos domínios do questionário LSI-A, versão pacientes.

Domínios	BEG	RI-	DP	RP	LR-	G
Sensibilidade	0.727	0.56	0.86	0.59	0.59	0.78
Especificidade	0.682	0.68	0.68	0.77	0.773	0.5
Probabilidade Prior	0.5	0.5	0.5	0.5	0.5	0.5
Likelihood Ratio Positivo	2.29	1.8	2.69	2.57	2.6	1.56
Probabilidade Posterior Positivo	69.57%	64.30%	72.88%	71.95%	72.22%	60.94%
Valor Preditivo Positivo	69.57%	64.30%	72.88%	71.95%	72.22%	60.94%
Likelihood Ratio Negativo	0.4	0.64	0.21	0.53	0.53	0.44
Probabilidade Posterior Negativo	28.59%	38.84%	17.07%	34.75%	34.66%	30.56%
Valor Preditivo Negativo	71.41%	61.16%	82.93%	65.25%	65.34%	69.44%
Ponto de Corte	28	38	39	35	37	37.00%
Distância	0.419	0.538	0.34	0.46	0.468	46.00%
Acurácia	70.45%	62.55%	77.00%	68.00%	68.15%	64.00%

BEG= Bem Estar Geral; RI=Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; LR= Lazer e Recreação; Geral= Geral.

Gráfico 29. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Bem Estar Geral* do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.

Gráfico 30. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Relacionamento Interpessoal* do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.

Gráfico 31. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Desenvolvimento Pessoal* do questionário LSI-A, aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.

Gráfico 32. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Realização Pessoal* do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.

Gráfico 33. Representação da Curva de ROC dos escores do domínio *Lazer e Recreação* do questionário LSI-A aplicado à Amostra Caso de DNM (n=32) e Controle.

6.2.2.5.3 PEDSQL DMD versão pais em validação

O emprego do teste *Receiver Operating Characteristic Curve* ROC, nos resultados da aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) proporcionou os seguintes dados: no escore geral, sensibilidade 0.795, especificidade 0.923, ponto de corte 88 e acurácia 85.90%; no escore geral, sensibilidade 0.795, especificidade 0.923, acurácia 05%; no domínio *Atividades Diárias*, sensibilidade 0.971, especificidade 1, ponto de corte 95 e acurácia 98.55%; no domínio *Tratamento* sensibilidade 0.657, especificidade 1, ponto de corte 93.75 e acurácia 82.85%; no domínio *Preocupação*, sensibilidade 0.914, especificidade 0.931, ponto de corte 87.5 e acurácia 92.17%; no domínio *Comunicação*, sensibilidade 0.571, especificidade 1, ponto de corte 83.3 e acurácia 78.55%. O IC foi de 95%. A curva permaneceu próxima ao eixo da abscissa, ou seja, ao padrão ouro, o que atribuiu ao questionário acurácia excelente (Tabela 26 e Gráficos 33 a 37).

Tabela 26. Teste ROC aplicado ao domínio *Atividades Diárias, Tratamento, Preocupação e Comunicação* do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.

PedsQL DMD	AD	Tr	Pr	Com	G
Sensibilidade	0.971	0.657	0.914	0.571	0.795
Especificidade	1	1	0.931	1	0.923
Probabilidade <i>Prior</i>	0.50%	0.50%	0.50%	0.50%	0.5%
<i>Likelihood Ratio</i> Positivo	971.51	657.67	13.25	571.71	1.32
Probabilidade Posterior Positiva	100.00%	100.00%	94.12%	100.00%	91.17%
Valor Preditivo Positivo	100.00%	100.00%	94.12%	100.00%	91.17%
<i>Likelihood Ratio</i> Negativo	0.03	34.00	0.09	43.00%	0.22
Probabilidade Posterior Negativo	2.82%	25.54%	10.03%	30.02%	18.17%
Valor Preditivo Negativo	97.18%	74.46%	89.97%	69.98%	18.17%
Ponto de corte	95	93.75	87.50	83.30	88
Distância	0.029	34.30	11.00	42.90	0,219
Acurácia	98.55%	82.85%	92.17%	78.55%	85.90%

AT= Atividades Diárias; Tr=Tratamento; Pr= Preocupação; Com= Comunicação; G= Geral.

Gráfico 34. Representação da Curva de ROC do *Escore Geral* do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.

Gráfico 35. Representação da Curva de ROC do domínio *Atividades Diárias* do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.

Gráfico 36. Representação da Curva de ROC do domínio *Tratamento* do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) e Controle.

Gráfico 37. Representação da Curva de ROC do domínio *Preocupação* do questionário PedsQL versão pais (n=35) e Controle.

Gráfico 38. Representação da Curva de ROC do domínio *Comunicação* do questionário PedsQL DMD versão pais (n=35) da Amostra Controle.

6.2.2.5.4 PEDSQL DMD versão paciente em validação

O emprego do teste *Receiver Operating Characteristic Curve* ROC, nos resultados da aplicação do questionário PedsQL DMD versão paciente (n=35) proporcionou os seguintes dados: no escore geral da aplicação à Amostra Caso de DMD e controle, sensibilidade 0.769, especificidade 0.897, ponto de corte 90 e acurácia

83.30%; no escore geral, sensibilidade 0.769, especificidade 0.897, acurácia 83.30%; no domínio *Atividades Diárias*, sensibilidade 0.943, especificidade 1, ponto de corte 95 e acurácia 97.15%; no domínio *Tratamento* sensibilidade 0.714, especificidade 1, ponto de corte 93.75 e acurácia 85.7%; no domínio *Preocupação*, sensibilidade 0.914, especificidade 0.931, ponto de corte 91.66 e acurácia 94.25%; no domínio *Comunicação*, sensibilidade 0.686, especificidade 0.943, ponto de corte 91.6 e acurácia 81.45%. O IC foi de 95%. A curva ficou próxima ao eixo da abscissa, ou seja, ao padrão ouro, que atribuiu ao questionário acurácia excelente (Tabelas 27 e Gráficos 38 a 42).

Tabela 27. Resultado do teste ROC aplicado aos domínios *Atividades Diárias*, *Tratamento*, *Preocupação* e *Comunicação* do questionário PedsQL DMD versão pacientes.

PedsQL DMD	AT	Tr	Pr	Com	G
Sensibilidade	0.943	0.714	0.914	0.686	0.769
Especificidade	1	1	0.931	0.943	0.897
Probabilidade Prior	0.50%	0.50%	0.50%	0.50%	0.5
Likelihood Ratio Positivo	94300000	71400000	11.29	12.04	7.47
Probabilidade Posterior Positiva	100.00%	100.00%	91.86%	92.33%	88.19%
Valor Preditivo Positivo	100.00%	100.00%	91.86%	92.33%	88.19%
Likelihood Ratio Negativo	0.06	29.00%	0.03	33.00%	0.26
Probabilidade Posterior Negativo	5.39%	22.24%	3.08%	24.98%	20.48%
Valor Preditivo Negativo	94.61%	77.76%	96.92%	75.02%	79.52%
Ponto de corte	95	93.75	91.66	91.60%	90
Distância	0.057	0.29	0.09	31.9	0,25
Acurácia	97.15%	85.70%	94.25%	81.45%	83.30%

AT= Atividades Diárias; Tr=Tratamento; Pr= Preocupação; Com= Comunicação; G= Geral.

Gráfico 39. Representação da Curva de ROC do *Escore Geral* do questionário PedsQL DMD versão paciente (n=35) e Controle.

Gráfico 40. Representação da Curva de ROC do domínio *Atividades Diárias* do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.

Gráfico 41. Representação da Curva de ROC do domínio *Tratamento* do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.

Gráfico 42. Representação da Curva de ROC do domínio *Preocupação* do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.

Gráfico 43. Representação da Curva de ROC do domínio *Comunicação* do questionário PedsQL DMD pacientes (n=35) e Controle.

6.3 Aplicação dos instrumentos LSI-A, PedsQL DMD e PedsQL NM

6.3.1 Aplicação do instrumento LSI-A aos grupos A, B, C e D das Amostras Caso de DNMs (DMD, AEP II e III, DMC)

O questionário LSI-A *versão pais* foi aplicado aos pais dos pacientes com DNMs do Grupos A, de 5 a 7 anos de idade; a *versão paciente* foi aplicada aos pacientes dos grupos B (8 a 10 anos); C (11 a 13 anos) e D (14 a 18 anos); o questionário apresentou dados relativos à QVRS dos pacientes com DNM (DMD, AEP II e III, DMC) nos domínios *Bem Estar Geral*, *Relacionamento Interpessoal*, *Desenvolvimento Pessoal* e *Lazer e Recreação* nas Amostras Caso e Controle.

6.3.1.1 Médias: LSI-A versão pais aplicado aos pais de pacientes com DMD dos Grupos A, B, C e D

As médias aritméticas dos escores de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e versão paciente da Amostra Caso de DMD (n=43) e Controle foram expostas na Tabela 28.

Tabela 28. Médias aritméticas descritiva de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e paciente com DMD do Grupo A (n=8), B (n=12), C (n=9) e D (n=14) e Controle.

LSI-A		Gp A				Gp B				Gp C				Gp D			
DMD	LSI-A	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín
Caso	BEG	28	28	30	25	27.83	28	29	25	26.9	27	28	24	27.23	28	30	21
Cont		29.6	30	31	28	30.04	30	32	28	28.8	27	29	24	30.12	30	32	26
Caso	RI	36.6	39	40	27	35.5	37	40	29	35.6	37	39	31	37.3	38	40	29
Cont		39.6	40	41	38	38.25	38	40	36	38.8	38	41	33	39.89	40	45	36
Caso	DP	37.3	38	40	34	38.83	39	41	36	35.3	36	39	34	37.69	38	41	34
Cont		41.5	42	43	40	42.07	43	45	37	40	40	45	36	39.54	41	45	34
Caso	RP	32.5	32	37	30	35.25	36	39	31	35	36	38	29	34.38	35	40	29
Cont		36.6	37	39	35	38.85	39	40	36	38.7	38	40	33	37.94	38	41	35
Caso	LR	34.4	35	39	26	36.5	37	39	34	33.6	35	37	28	35.07	36	38	26
Cont		38.6	38	41	36	39	39	40	38	37.5	38	41	36	39.26	40	40	38

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle. Med.=mediana; Máx.=máxima; Mín.=mínima.

6.3.1.2 Significância dos escores do LSI-A versão pais na amostra caso de DMD do

Grupo A

No Grupo A, pacientes de cinco a sete anos de idade com as diferentes DNMs (n=8), cujo questionário LSI-A versão pais foi respondido pelo cuidador /um dos pais, a comparação com a Amostra Controle, revela significância favorável ao Controle em todos os domínios (Tabela 29).

Tabela 29. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão pais na Amostra Caso de DMD do Grupo A (n=8) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont
n	8	8	8	8	8	8	8	8	8	8
Mediana	28,5	30	38,5	40	38	42	31,5	36,5	35	38
U	9		8,5		1		5,5		16	
Z	2,4155		2,468		3,2557		2,7831		1,6803	
p	0,0079		0,0068		0,0006		0,0027		0,0464	

BEG=Bem Estar Geral; RI.=Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação.

6.3.1.3 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo B

No Grupo B, os pacientes com DMD entre oito a 10 anos de idade da Amostra Caso (n=12) responderam ao questionário LSI-A versão paciente. Os escores da QV, em comparação à Amostra Controle, revelam significância em todos os domínios em, indicar menor QVRS da Amostra Caso (Tabela 30).

Tabela 30. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo B (n=12) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
n	12	12	12	12	12	12	12	12	12	12
Mediana	28.00	30.00	36.50	38.00	39.00	43.00	35.50	39.00	36.50	38.50
U	20.50		32.50		24.00		16.00		16.50	
Z	2.9734		2.2805		2.7713		3.2332		3.2043	
p	0.0015		0.0113		0.0028		0.0006		0.0007	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=Controle.

6.3.1.4 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo C

No grupo C, composto por Amostra Caso de pacientes de 11 a 13 anos de idade com DMD (n=9), que responderam o LSI-A, em comparação à Amostra Controle, houve significância em todos os domínios, exceto no domínio *Relacionamento Interpessoal*, em indicar pior QVRS (Tabela 31).

Tabela 31. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo C (n=9) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
<i>n</i>	9	9	9	9	9	9	9	9	9	9
Mediana	27.00	28.00	35.00	39.00	36.00	40.00	35.00	38.00	34.00	38.00
U	30.00		20.50		14.00		13.50		5.00	
Z	0.9272		1.7660		2.3400		2.3842		3.1347	
p	0.1769		0.0387		0.0096		0.0086		0.0009	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.5 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do grupo D

No grupo D, pacientes com DMD de 14 a 18 anos de idade da Amostra Caso (n=14) responderam ao LSI-A versão paciente. Ocorreu significância favorável a Amostra Controle em todos os domínios (Tabela 32).

Tabela 32. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMD do Grupo D (n=14) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
n	14	14	14	14	14	14	14	14	14	14
Mediana	28.00	30.00	38.00	40.00	38.00	40.50	35.00	38.00	36.00	39.50
U	38.00		46.50		57.50		36.50		4.50	
Z	2.7569		2.3663		1.8609		2.8258		4.2961	
p	0.0029		0.0090		0.0314		0.0024		< .0001	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.6 Médias: LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III dos grupos A, B, C e D

As médias aritméticas dos escores de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e versão paciente da amostra Caso de AEP tipo II e III (n=21) e Controle foram expostas na Tabela 33.

Tabela 33. Médias aritméticas descritiva de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e paciente com AEP tipo II e III do Grupo A (n=5), B (n=5), C (n=7) e D (n=4) e Controle.

LSI-A		Gp A				Gp B				Gp C				Gp D			
AEP	LSI-A	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín
Caso	BEG	28	29	30	26	27.6	28	29	29	26.4	26	32	24	27.23	28	28	26
Cont		29.6	29	30	27	30.04	30	32	32	28.4	29	32	36	30.12	31	32	29
Caso	RI	38.7	39	40	37	38.4	39	40	40	37.1	37	41	33	37.5	38	39	35
Cont		39.6	39	40	38	38.25	39	40	40	38.8	40	41	36	39.89	40	40	39
Caso	DP	38.7	39	39	38	39	38	41	41	35	35	39	30	39.25	39	41	38
Cont		41.5	42	44	41	42.07	43	45	45	40	42	45	37	39.54	42	43	34
Caso	RP	35.3	35	37	34	36.6	37	39	39	36.3	37	38	32	34.5	36	38	28
Cont		36.6	37	38	35	38.85	40	40	40	38.7	40	41	35	37.94	38	41	37
Caso	LR	38	38	39	37	37.6	38	39	39	33.6	36	37	25	36.25	35	40	35
Cont		38.6	40	40	37	39	39	40	40	37.5	37	41	33	39.26	40	40	38

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; Interp=Interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle. Med.=mediana; Máx.=máxima; Mín.=mínima.

6.3.1.7 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo A

No Grupo A, de pacientes da Amostra Caso de AEP tipo II e III (n=05), de 05 a 07 anos de idade, o questionário LSI-A versão pais foi respondido pelo cuidador / um dos pais; em comparação à Amostra Controle. Houve significância nos domínios *Realização Pessoal e Lazer e Recreação*, indicando menor qualidade de vida à Amostra Caso. Nos domínios *Bem Estar Geral, Relacionamento Interpessoal e Desenvolvimento Pessoal* não houve significância (Tabela 34).

Tabela 34. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão pais na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo A (n=05) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont
n	5	5	5	5	5	5	5	5	5	5
Mediana	29	29	38	40	40	39	35	38	35	38
U	10.5		5.5		5.5		3.5		3.5	
Z	0.4178		1.4623		1.4623		1.88		1.88	
P	0.3381		0.0718		0.0718		0.0301		0.0301	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.8 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B

No grupo B, os pacientes da Amostra Caso de AEP tipo II e III (n=5), de oito a 10 anos de idade, responderam o LSI-A versão paciente; em comparação à Amostra Controle houve significância, nos domínios *Bem Estar Geral*, *Desenvolvimento Pessoal*, *Realização Pessoal*, apontando menor QVRS da Amostra Caso; nos domínios *Relacionamento Interpessoal* e *Lazer e Recreação*, a QVRS foi equivalente à Amostra Controle (Tabela 35).

Tabela 35. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B (n=05) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
n	5	5	5	5	5	5	5	5	5	5
Mediana	28	30	39	39	38	43	37	40	38	39
U	1		11.5		0.5		2		6	
Z	2.4023		0.2089		2.5067		2.1934		1.3578	
P	0.0081		0.4173		0.0061		0.0141		0.0873	

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.9 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C

No grupo C da Amostra Caso de AEP II e III (n=07), pacientes de 11 a 13 anos de idade responderam o LSI-A versão paciente; em comparação à Amostra Controle,

houve significância nos domínios Bem Estar Geral, Desenvolvimento Pessoal e Realização Pessoal em indicar menor QVRS para a Amostra Caso; nos domínios Relacionamento Interpessoal e Lazer e Recreação, a QVRS foi próxima à da Amostra Controle (Tabela 36).

Tabela 36. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C (n=07) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
n	7	7	7	7	7	7	7	7	7	7
Mediana	26	29	37	40	35	42	37	40	36	37
U	10.5		13.5		3		5		14.5	
Z	1.7889		1.4055		2.7472		2.4916		1.2778	
p	0.0368		0.0799		0.003		0.0064		0.1007	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.10 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo D

No grupo D da Amostra Caso de AEP II e III (n=04), pacientes de 14 a 18 anos de idade responderam ao LSI-A versão paciente; houve significância em indicar melhor QVRS na Amostra Controle, nos domínios *Relacionamento Interpessoal* e *Lazer e Recreação*; nos domínios *Bem Estar Geral*, *Desenvolvimento Pessoal* e *Realização Pessoal*, houve equivalência da QVRS entre as Amostras (Tabela 37).

Tabela 37. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo D (n=04) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
N	4	4	4	4	4	4	4	4	4	4
Mediana	29	30.5	38	40.5	37.5	37.5	35.5	38	35.5	39
U	4.5		1.5		6.5		5.5		1.5	
Z	1.0104		1.8764		0.433		0.7217		1.8764	
P	0.1562		0.0303		0.3325		0.2352		0.0303	

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.11 Médias: LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC dos grupos A, B, C e D

As médias aritméticas dos escores de todos os domínios do questionário LSI-A versão paciente da amostra caso de DMC (n=18) e Controle foram expostas na Tabela 38.

Tabela 38. Médias aritméticas descritiva de todos os domínios do questionário LSI-A versão pais e paciente com DMC dos grupos A (n=6), B (n=4), C (n=4) e D (n=4) e Controle.

LSIA		Gp A				Gp B				Gp C				Gp D			
DMC	LSI-A	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín	Média	Med	Máx	Mín
Caso	BEG	29.5	30	31	28	29	29	30	28	27.7	29	29	25	29	29	31	27
Cont		29.6	30	31	29	30	31	32	30	28.4	29	30	29	30.12	31	31	29
Caso	RI	39.2	39	40	38	37.5	38	39	35	37.7	39	40	34	38.5	38	40	38
Cont		39.6	41	41	37	38.25	39	40	37	38.8	39	41	39	39.89	41	41	39
Caso	DP	38.5	38	42	36	39	38	43	37	36.3	38	38	33	37.25	38	39	35
Cont		41.5	41	43	38	42.07	41	45	40	40	40	43	36	39.54	38	43	37
Caso	RP	38.7	39	40	37	36.25	36	38	35	34.3	35	36	32	36.25	36	40	34
Cont		36.6	39	40	38	38.85	39	40	36	38.7	40	40	37	37.94	38	39	35
Caso	LR	37.7	38	39	36	37.25	37	41	35	35	37	38	30	36	36	39	34
Cont		38.6	39	42	36	39	39	41	38	37.5	38	40	37	39.26	39	40	39

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle. Med.=mediana; Máx.=máxima; Mín.=mínima.

6.3.1.12 Significância dos escores do LSI-A versão pais na Amostra Caso de DMC do Grupo A

Na Amostra Caso de DMC Grupo A (n=6), cinco a sete anos de idade, o questionário LSI-A versão pais foi respondido por um dos pais do paciente; em relação à Amostra Controle, não houve significância em nenhum dos domínios, indicando que a QVRS da Amostra Caso é tão satisfatória quanto à da Amostra Controle (Tabela 39).

Tabela 39. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão pais na Amostra Caso de DMC do Grupo A (n=06) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont
n	6	6	6	6	6	6	6	6	6	6
Mediana	29.5	30	39	40.5	38	40.5	39	39	38	39
U	11		10.5		8		13		10	
Z	1.1209		1.201		1.6013		0.8006		1.281	
p	0.1312		0.1149		0.0547		0.2117		0.1001	

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.13 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo B

No grupo B da Amostra Caso de DMC (n=4), de oito a 10 anos de idade, a aplicação do questionário LSI-A versão paciente demonstrou significância nos domínios *Bem Estar Geral* e *Realização Pessoal* em indicar que a QVRS da Amostra Caso está

aquém daquela da Amostra Controle, exceto nos domínios *Relacionamento Interpessoal*, *Desenvolvimento Pessoal* e *Lazer e Recreação*, nos quais a QVRS esteve próxima em ambas as Amostras (Tabela 40).

Tabela 40. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo A (n=04) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
N	4	4	4	4	4	4	4	4	4	4
Mediana	29	30.5	38	39	38	40.5	36	39	36.5	39
U	1		4		3		2		3.5	
Z	2.0207		1.1547		1.4434		1.7321		1.299	
p	0.0217		0.1241		0.0745		0.0416		0.097	

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.14 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo C

No grupo C da Amostra Caso de DMC (n=4), de 11 a 13 anos de idade, em comparação à Amostra Controle, os escores do questionário LSI-A versão paciente sinalizaram significância nos domínios *Bem Estar Geral*, *Desenvolvimento Pessoal*, *Realização Pessoal*, em indicar melhor QVRS da Amostra Controle; nos domínios *Relacionamento Interpessoal* e *Lazer e Recreação*, não houve significância, sendo os valores equivalentes para ambas as Amostras (Tabela 41).

Tabela 41. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo C (n=04) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
n	4	4	4	4	4	4	4	4	4	4
Mediana	27	29.5	36.5	39	35.5	41.5	35.5	40	33.5	37.5
U	2		4.5		2		0		3.5	
Z	1.7321		1.0104		1.7321		2.3094		1.299	
p	0.0416		0.1562		0.0416		0.0105		0.097	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.15 Significância dos escores do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo D

No grupo D da Amostra Caso de DMC (n=4), constituída por pacientes de 14 a 18 anos de idade, os resultados da aplicação do questionário LSI-A versão paciente não apresentaram significância em relação à Amostra Controle nos diferentes domínios, exceto no domínio *Relacionamento Interpessoal* e *Lazer e Recreação*, indicando que a QVRS dos pacientes foi quase tão satisfatória quanto à da Amostra Controle (Tabela 42).

Tabela 42. Teste Mann Whitney para avaliar as significâncias obtidas nos diferentes domínios do LSI-A versão paciente na Amostra Caso de DMC do Grupo D (n=04) e Controle.

LSI-A	BEG		RI		DP		RP		LR	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
N	4	4	4	4	4	4	4	4	4	4
Mediana	29	30.5	38	40.5	37.5	37.5	35.5	38	35.5	39
U	4.5		1.5		6.5		5.5		1.5	
Z	1.0104		1.8764		0.433		0.7217		1.8764	
p	0.1562		0.0303		0.3325		0.2352		0.0303	

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Cont=controle.

6.3.1.16 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de DMD, AEP II e III e DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do LSI-A versão pais e paciente

A média dos escores de QVRS obtidos mediante aplicação do LSI-A versão pais, ao cuidador / um dos pais de paciente com DNM do Grupos A e versão paciente, aplicada aos pacientes com DNM dos grupos B, C e D e Controle está especificada na Tabela 43. Nos domínios *Bem Estar Geral*, *Relacionamento Interpessoal* e *Lazer e Recreação* das Amostras Caso com DMD, AEP e DMC, a média dos escores de QVRS apresentou queda dos escores médios do Grupo A, B e C, porém no D, houve recuperação dos valores. No domínio *Desenvolvimento Pessoal* houve ascensão do Grupo A para o B, queda no C e, recuperação no D. No domínio *Realização Pessoal*, em termos gerais, os valores médios demostram queda gradual em todos os grupos. Os Gráficos 44 a 46 representam a média dos escores obtidos na aplicação do LSI-A versão pais e pacientes sinalizando diferença ascendente dos escores de QVRS entre as DNMs citadas e entre a Amostra Caso e a Amostra Controle.

Tabela 43: Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de DMD, AEP e DMC dos grupos A B, C e D (n=82) e controles mediante aplicação do LSI-A versão pais e versão e versão pais

		Grupo A				Grupo B			Grupo C			Grupo D		
	LSI-A	DMD	AEP	DMC		DMD	AEP	DMC	DMD	AEP	DMC	DMD	AEP	DMC
Caso	BEG	28	28	29.5		27.83	27.6	29	26.88	26.42	27.66	27.23	27.25	29
Controle		29.56	29.56	29.56		30.04	30.04	30.04	28.37	28.37	28.37	30.12	30.12	30.12
Caso	RI	36.62	38.66	39.16		35.5	38.4	37.5	35.55	37.14	37.66	37.3	37.5	38.5
Controle		39.61	39.61	39.61		38.25	38.25	38.25	38.77	38.77	38.77	39.89	39.89	39.89
Caso	DP	37.25	38.66	38.5		38.83	39	39	35.33	35	36.33	37.69	39.25	37.25
Controle		41.52	41.52	41.52		42.07	42.07	42.07	39.95	39.95	39.95	39.54	39.54	39.54
Caso	RP	32.5	35.33	38.66		35.25	36.6	36.25	35	36.28	34.33	34.38	34.5	36.25
Controle		36.6	36.6	36.6		38.85	38.85	38.85	38.72	38.72	38.72	37.94	37.94	37.94
Caso	LR	34.37	38	37.66		36.5	37.6	37.25	33.55	34	35	35.07	36.25	36
Controle		38.59	38.59	38.59		39	39	39	37.51	37.51	37.51	39.26	39.26	39.26

BEG=Bem Estar Geral; RI.= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação.

Gráfico 44. Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão pais aplicada a um dos pais dos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo A e Controle.

Gráfico 45. Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo B e Controle.

Gráfico 46: Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo C e Controle.

Gráfico 47: Representação gráfica da média geral de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) do Grupo D e Controle.

6.3.1.17 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso de DMD, AEP II e III e DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do LSI-A versão pais e paciente

O questionário LSI-A versão pais foi aplicado a um dos pais de pacientes com DNM do Grupo A e LSI-A versão paciente, aplicado ao próprio paciente dos grupos B, C e D. As significância foram expostas na Tabela 44. Destacou-se o nível de significância, o qual sinalizava que a QVRS da Amostra Caso era inferior a da Amostra Controle. Nos pacientes com DMD, verificou-se 95% de domínios significantes em QVRS; nos pacientes com AEP tipo II e III, constatou-se 50% de domínios significantes; nos pacientes com DMC, 35% de domínios significantes.

Tabela 44. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário LSI-A versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com DNM (DMD, AEP e DMC) e Controle.

LSI-A	Gp	BEG	RI	DP	RP	LR
DMD	A	0.0079	0.0068	0.0006	0.0027	0.0464
DMD	B	0.0015	0.0113	0.0028	0.0006	0.0007
DMD	C	0.1769	0.0387	0.0096	0.0086	0.0009
DMD	D	0.0029	0.009	0.0314	0.0024	<0.0001
AEP II e III	A	0.3381	0.0718	0.0718	0.0301	0.0301
AEP II e III	B	0.0081	0.4173	0.0061	0.0141	0.0873
AEP II e III	C	0.0368	0.0799	0.003	0.0064	0.1007
AEP II e III	D	0.1562	0.0303	0.3325	0.2352	0.0303
DMC	A	0.1312	0.1149	0.0547	0.2117	0.1001
DMC	B	0.0217	0.1241	0.0745	0.0416	0.097
DMC	C	0.0416	0.1562	0.0416	0.0105	0.097
DMC	D	0.1562	0.0303	0.3325	0.2353	0.0303

BEG=Bem Estar Geral; RI= Relacionamento Interpessoal; DP=Desenvolvimento Pessoal; Interp=interpessoal; RP=Realização Pessoal e LR=Lazer e Recreação; Gp= Grupo.

6.3.2 Aplicação do instrumento PedsQL DMD aos grupos A, B e C das Amostras

Caso de DMD

6.3.2.1 Médias, mediana, máxima e mínima dos escores do PEDS QL DMD versão pais –

GRUPO A

A Tabela 45 mostra dados descritivos da Amostra Caso de DMD do Grupo A, pacientes com cinco a sete anos de idade, cujos pais responderam ao PedsQL DMD. Os dados apontam maior QVRS da Amostra Controle.

Tabela 45. Estatística descritiva dos escores obtidos nos domínios Atividades Diárias, Dificuldade no Tratamento, Preocupação e Comunicação na aplicação do questionário PedsQL DMD aos cuidadores da Amostra Caso de DMD do Grupo A e Amostra Controle.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
Amostra	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	8	8	8	8	8	8	8	8
Mínimo	60	90	75	100	41.6	95	8.3	93.75
Máximo	100	100	100	100	100	100	100	100
Mediana	82.5	100	83.75	100	81.23	100	100	100
Média	83.12	98.12	85.78	100.	76.01	99.37	81.23	99.21
DP	16	3.7	11	0	184	1.7	32.3	2.2

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; DP: desvio padrão.

6.3.2.2 Significância dos escores do PedsQL DMD versão pais – Grupo A

A aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais à Amostra Caso de DMD do Grupo A, de pacientes de cinco a sete anos de idade e à Amostra Controle mostrou diferença significativa nos domínios *Atividades Diárias*, $p = 0.0371$, *Tratamento*,

$p=0.0059$ e *Preocupação*, $p=0.0019$. Não houve significância no domínio *Comunicação* $p=0.1592$. No Grupo A, devido ao fator idade, não foi aplicada a versão paciente (Tabela 46).

Tabela 46. Teste Mann Whitney para analisar a significância da diferença dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD aos pais da Amostra Caso de DMD do Grupo A e Amostra Controle.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont
n	8	8	8	8	8	8	8	8
Mediana	82.50	100.00	83.75	100.00	81.23	100.00	100.00	100.00
U	15.00		8.00		4.50		22.50	
Z	1.7854		2.5205		2.8881		0.9977	
P	0.0371		0.0059		0.0019		0.1592	

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; Cont = Controle.

6.3.2.3 Médias, mediana, máxima e mínima dos escores do PEDSQL DMD versão pais e versão paciente – Grupo B

A Tabela 47 apresenta os escores do Grupo B da Amostra Caso de DMD, de oito a 12 anos de idade, obtidos mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente, comparados à Amostra Controle. Evidencia a diminuição dos escores médios na Amostra Caso, nos domínios *Atividades Diárias*, *Preocupação*, *Comunicação* e *Tratamento*; quando comparado ao Grupo A, o Grupo B manifestou queda dos escores médios em todos os domínios.

Tabela 47: Estatística descritiva do escore geral da Amostra Caso de DMD do Grupo B e da Amostra Controle obtido na aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente.

Domínios	Atividades Diárias				Tratamento				Preocupação				Comunicação			
	Pais	Filho	Pais	Filho	Pais	Filho	Pais	Filho	Pais	Filho	Pais	Filho	Pais	Filho	Pais	Filho
Amostra	Caso	Caso	Cont	Cont	Caso	Caso	Cont	Cont	Caso	Caso	Cont	Cont	Caso	Caso	Cont	Cont
N	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22	22
Mínimo	35	40	100	100	31	37.5	100	100	20.8	33.3	87.25	91.6	8.3	8.3	91.16	91.2
Máximo	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100	100
Mediana	65	77.5	100	100	87.5	87.5	100	100	79.13	79.16	100	100	83.3	79.15	100	100
Média	67.5	72.5	100	100	81.43	82.35	100	100	71.19	73.37	98.18	98.2	81.8	76.11	98.93	98.6
DP	17	16	0	0	20	18	0	0	22	19	4	3	24	26	2	3

Cont = Controle; DP = Desvio Padrão.

6.3.2.4 Significância do PedsQL DMD versão pais – Grupo B

No Grupo B da Amostra Caso de DMD (n=22), pacientes de oito a 12 anos de idade, a comparação dos escores provenientes das respostas dos pais da Amostra Caso e dos pais da Amostra Controle, expressou significância com $p < 0.0001$ nos domínios *Atividades Diárias*, *Dificuldade no Tratamento* e *Preocupação*, e $p=0.003$ no domínio *Comunicação*; portanto ocorreu melhor QVRS na Amostra Controle em todos os domínios (Tabela 48).

Tabela 48. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD à Amostra Pais da Amostra Caso de DMD do Grupo B e pais da Amostra Controle.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Controle
n	22	22	22	22	22	22	22	22
Mediana	65.00	100.00	87.50	100.00	79.13	100.00	83.30	100.00
U	11.00		66.00		23.00		125.00	
Z	5.4222		4.1312		5.1405		2.7463	
P	< 0.0001		< 0.0001		< 0.0001		0.003	

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr=Preocupação; Co=Comunicação; Cont = Controle.

6.3.2.5 Significância do PedsQL DMD versão paciente – Grupo B

A comparação dos escores obtidos entre a Amostra Caso (DMD) do Grupo B e Amostra Controle mostrou significância em todos os domínios, indicando qualidade de vida favorável ao grupo Controle, conforme Tabela 49.

Tabela 49: Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD aos pacientes da Amostra de DMD do Grupo B e Controle.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	AD
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
N	22	22	22	22	22	22	22	22
Mediana	77.50	100.00	87.50	100.00	79.16	100.00	79.15	100.00
U	11.00		55.00		21.00		94.00	
Z	5.4222		4.3894		5.1875		3.4739	
P	< 0.0001		< 0.0001		< 0.0001		0.0003	

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; Cont = Controle.

6.3.2.6 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL DMD

versão pais e versão paciente – Grupo B

Mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente a um dos Pais de pacientes da Amostra Caso de DMD do Grupo B (8 a 12 anos de idade) e da Amostra Controle, não houve variância nos diferentes domínios (Tabela 50).

Tabela 50. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso do Grupo B, mediante aplicação do questionário PedsQL DMD.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
Amostra	Pais Caso	Filho Caso	Pais Caso	Filho Caso	Pais Caso	Filho Caso	Pais Caso	Filho Caso
Soma dos Ranks	66.0000	90.0000	116.5000	117.5000	79.5000	91.5000	126.5000	104.5000
Mediana	65.0000	77.5000	87.5000	87.5000	79.1300	79.1600	83.3000	79.1500
Média Ranks	3.0000	4.0909	5.2955	5.3409	3.6136	4.1591	5.7500	4.7500
Média	67.5000	72.5000	81.4659	82.3841	71.1914	73.6314	81.8000	76.1136
DP	17.5085	16.7439	20.8477	18.8610	22.1175	19.3311	24.0881	26.1431
Friedman	23.0417							

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; DP: desvio padrão.

Significância entre os pais da Amostra Caso e a Amostra Caso de DMD do Grupo B segundo Teste Dunn.

Comparações:	Diferença	<i>P</i>
Ranks 1 e 2	24	ns
Ranks 3 e 4	1	ns
Ranks 5 e 6	12	ns
Ranks 7 e 8	22	ns

6.3.2.7 Média, mediana, máxima e mínima dos escores do PedsQL DMD versão pais e versão paciente – Grupo C

A média dos escores entre Amostra Caso de DMD do Grupo C (n=13) e Amostra Controle decresceu gradativamente nos domínios *Atividades Diárias*, *Preocupação*, *Comunicação* e *Tratamento*, nesta ordem (Tabela 51).

Tabela 51. Estatística descritiva do escore geral obtido na aplicação do questionário PedsQL DMD aos cuidadores/ um dos pais da Amostra Caso de DMD do Grupo C e Controle.

Domínios	Atividades Diárias				Tratamento				Preocupação				Comunicação			
	Pai	Filho	Pai	Filho	Pai	Filho	Pai	Filho	Pai	Filho	Pai	Filho	Pai	Filho	Pai	Filho
Sujeitos	Caso	Caso	Contr	Contr	Caso	Caso	Contr	Contr	Caso	Caso	Contr	Contr	Caso	Caso	Contr	Contr
N	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13	13
Mínimo	0	0	100	100	56.2	56.2	100	100	37.5	37.5	91.6	100	50	8.3	91.1	93.7
Máximo	95	100	100	100	100	100	100	100	87.2	91.6	100	100	100	100	100	100
Mediana	60	65	100	100	87.5	87.5	100	100	58.3	58.3	100	100	66.6	75	100	100
Média	55	57.3	100	100	85	84.5	100	100	66.6	69.1	99	100	82	82.4	99.3	99.5
DP	29	28	0	0	17	16	0	0	15	16	3	0	5	5	0	0

DP = desvio padrão; Contr.= Controle.

6.3.2.8 Significância do PedsQL DMD versão pais – Grupo C

O PedsQL DMD versão pais aplicado a um dos pais de pacientes da Amostra Caso (n=13) de DMD, de 13 a 18 anos de idade, e da Amostra Controle mostrou significância em todos os domínios favorável à amostra Controle, evidenciando que o grupo Controle possui QVRS mais satisfatória do que os referidos pacientes, conforme Tabela 52.

Tabela 52. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD versão pais, a um dos pais de pacientes da Amostra de DMD do Grupo C e Controle.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	13	13	13	13	13	13	13	13
Mediana	60.00	100.00	87.50	100.00	66.60	100.00	83.30	100.00
U	0.00		39.00		0.00		35.00	
Z	4.333		2.333		4.333		2.538	
p	< 0.0001		0.0098		< 0.0001		0.0056	

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; Cont = Controle.

6.3.2.9 Significância dos escores do PedsQL DMD versão paciente – Grupo C

Os índices de QVRS da Amostra Caso com DMD do Grupo C mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão paciente em comparação à Amostra Controle sinalizou ocorrência de significância geral, denotando QVRS da amostra Controle superior a da Caso (Tabela 53).

Tabela 53. Teste Mann Whitney para analisar a significância dos escores obtidos através da aplicação do PedsQL DMD versão pacientes, aplicado aos pacientes da Amostra de DMD do Grupo C e Controle.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
Amostra	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont	Caso	Cont
n	13	13	13	13	13	13	13	13
Mediana	65.00	100.00	87.50	100.00	70.83	100.00	91.60	100.00
U	6.50		32.50		0.00		28.00	
Z	4.0000		2.6667		4.3333		2.8974	
p	0.0001		0.0038		< 0.0001		0.0019	

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; Cont = Controle.

6.3.2.10 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL

DMD versão pais e versão paciente – Grupo C

Mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente a um dos Pais de pacientes da Amostra Caso de DMD do Grupo C (13 a 18 anos de idade) e da Amostra Controle, não houve variância nos diferentes domínios (Tabela 54).

Tabela 54. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso do Grupo C, mediante aplicação do questionário PesdsQL DMD.

Domínios	AD		DT		Pr		Co	
Amostra	Pais Caso	Filho Caso	Pais Caso	Filho Caso	Pais Caso	Filho Caso	Pais Caso	Filho Caso
Soma Ranks	30.5000	41.5000	82.5000	80.0000	41.5000	47.0000	70.5000	74.5000
Mediana	60.0000	65.0000	87.5000	87.5000	66.6000	70.8300	83.3000	91.6000
Média								
Ranks	2.3462	3.1923	6.3462	6.1538	3.1923	3.6154	5.4231	5.7308
Média	55.3846	57.3077	85.0577	84.5769	66.6238	69.5123	82.0308	82.4154
DP	29.4011	28.8397	17.4610	16.3182	15.3693	16.3253	18.5945	19.1477
Friedman	37.5962							

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; DP: desvio padrão.

Significância ou entre os pais da Amostra Caso e a Amostra Caso de DMD do Grupo C segundo Teste Dunn.

Comparações:	Diferença	P
Ranks 1 e 2	11	Ns
Ranks 3 e 4	2.5	Ns
Ranks 5 e 6	5.5	Ns
Ranks 7 e 8	4	Ns

6.3.2.11 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de DMD e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL DMD versão pais e paciente

A comparação da média dos escores de QVRS da Amostra Caso do Grupo A, B e C dos pacientes com DMD obtidos mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente; houve queda na média dos escores de QVRS no grupo C; em todos os grupos a QVRS permaneceu inferior a da Amostra Controle (Gráfico 47).

Gráfico 48: Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de DMD dos grupos A B e C e controles mediante aplicação do PedsQL versão pais e versão paciente.

6.3.2.12 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso de DMD e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL DMD versão pais e paciente

As significância dos escores do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente da Amostra Caso dos grupos A, B e C e Amostra Controle foram expostas na Tabela 55. O nível de significância das diferenças nas médias dos escores, mediante teste Mann Whitney identificou o quanto da QVRS da Amostra Caso foi inferior a da Amostra Controle. No PedsQL versão pais, a Amostra Caso apresentou 95% de significância em QVRS; no PedsQL versão paciente, a Amostra Caso revelou

significância em todos os domínios; lembrando que nesta versão não houve aplicação direta às crianças do Grupo A, entre 05 e 07 anos.

Tabela 55. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com DMD e Controle.

Pais	AD	DT	Pr	Co
DMD A	0.0371	0.0059	0.0019	0.1592
DMD B	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	0.003
DMD C	< 0.0001	0.0098	< 0.0001	0.0056
Paciente	AD	DT	Pr	Co
DMD B	< 0.0001	< 0.0001	< 0.0001	0.0003
DMD C	< 0.0001	0.0038	< 0.0001	0.0019

AD=Atividades Diárias; DT=Dificuldade no Tratamento; Pr= Preocupação; Co=Comunicação; DP: Desvio Padrão.

6.3.3 Aplicação do instrumento PedsQL NM às Amostras Caso de AEP, tipos II e III, e DMC dos grupos A, B e C

O questionário PedsQL NM versão pais aplicada à Amostra Pais de pacientes com AEP II, AEP III e DMC dos três grupos A, B e C e versão paciente aplicado somente aos pacientes dos Grupos B (8 a 12 anos de idade) e C (13 a 18 anos), apresenta dados relativos à QVRL nos domínios *Quadro Físico, Comunicação e Recursos Familiares*.

6.3.3.1 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais - AEP tipo II e

III- Grupo A

A Tabela 56 expõe dados descritivos da aplicação do instrumento PedsQL NM versão pais aplicada a um dos pais de pacientes da Amostra Caso do grupo A com AEP tipo II e III (n=5) e um dos pais da Amostra Controle, ambas compostas por crianças entre 5 e 7 anos de idade. Houve diferença entre as médias das amostras dos pais nos diferentes domínios.

Tabela 56. Estatística Descritiva dos escores do questionário PedsQL NM versão pais e paciente da Amostra Caso do Grupo A (n=5) e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
Mínimo	70.58	91.6	83.3	91.6	80	95
Máximo	89.7	100	100	100	100	100
Mediana	86.76	98.52	100	100	100	100
Média	84.66	97.43	94.98	98.32	96	99
DP	8	3	7	3	8	2

6.3.3.2 Significância dos escores do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do

Grupo A

Quanto à aplicação do questionário PedsQL NM versão pais de pacientes com DMC do grupo A (n=5), de cinco a sete anos de idade, houve significância no domínio

Quadro Físico com $p=0.0045$, sinalizando melhor QVRS para as crianças da Amostra Controle. O resultado aproximação na QVRS das duas Amostras, conforme Tabela 57.

Tabela 57. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM aplicado aos pais da Amostra Caso com DMC do Grupo A e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
Amostra	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	5	5	5	5	5	5
Mediana	86.76	98.52	100.00	100.00	100.00	100.00
U	0.00		9.50		12.00	
Z	2.6112		0.6267		0.1044	
p	0.0045		0.2654		0.4584	

6.3.3.3 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais - AEP tipo II e III- Grupo B

No Grupo B (n=5), composto por pacientes com AEP, de 8 a 12 anos de idade, os escores do questionário PedsQL NM versão pais aplicado a um dos pais da Amostra Caso apresentou queda da QVRS nos domínios *Quadro Físico*, *Comunicação* e *Recursos Familiares* quando comparado com a Amostra Controle, de acordo Tabela 58.

Tabela 58. Estatística Descritiva dos escores do questionário PedsQL NM versão pais da Amostra Caso de AEP do grupo B (n=5) e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		R. Famil.
Amostra	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso	Pais Cont	Pais Caso Pais Cont
Mínimo	35.29	100	41.6	100	20 80
Máximo	83.82	100	100	100	100 100
Mediana	70.5	100	100	100	85 100
Média	64.02	100	85.17	100	80 95.5
DP	14	0	23	0	25 6

R. Famil. = Recursos Familiares; Cont=Controle.

6.3.3.4 Significância do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo B

Nos escores do questionário PedsQL NM versão pais aplicado a um dos pais de pacientes com AEP tipo II e III do Grupo B (n=5), de oito a 12 anos de idade, em comparação com a Amostra Controle, foi sinalizada significância favorável a Amostra Controle no domínio *Quadro Físico* $p= 0.0002$ (Tabela 59).

Tabela 59. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso com AEP II e III do Grupo B e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
Amostra						
n	9	9	9	9	9	9
Mediana	70.50	100.00	100.00	100.00	85.00	100.00
U	0.00		27.00		22.50	
Z	3.5762		1.1921		1.5894	
p	0.0002		0.1166		0.0560	

6.3.3.5 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente - AEP tipo II e III- Grupo B

A Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B (n=9), composta por pacientes de 8 a 12 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente apresentou escores indicadores de QVRS menores do que os da Amostra Controle em todos os domínios (Tabela 60).

Tabela 60. Estatística Descritiva do escore do questionário PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de AEP II e III do grupo B e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
Amostra						
N	9	9	9	9	9	9
Mínimo	33.8200	100.0000	58.3000	100.0000	25.0000	90.0000
Máximo	86.7600	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000
Mediana	72.5000	100.0000	91.6000	100.0000	90.0000	100.0000
Média	65.0211	100.0000	87.0111	100.0000	80.5556	97.2222

6.3.3.6 Significância dos escores do PedsQL NM versão paciente à AEP II e III– Grupo B

No Grupo B, composto por pacientes com AEP, de 8 a 12 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente, houve significância no domínio *Quadro Físico* $p=0.0009$, domínio *Comunicação* $p=0.0127$ e domínio *Recursos Familiares* $p=0.0013$, indicando melhor QVRS a Amostra Controle, conforme Tabela 61.

Tabela 61. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso do Grupo B e da Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
N	7	7	7	7	7	7
Mediana	60.29	100.00	91.60	100.00	85.00	100.00
U	0.00		7.00		1.00	
Z	3.1305		2.2361		3.0027	
P	0.0009		0.0127		0.0013	

6.3.3.7 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – AEP do Grupo B

Mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente a um dos Pais de pacientes da Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B C (8 a 12

anos de idade) e da Amostra Controle, não houve variância nos diferentes domínios (Tabela 62).

Tabela 62. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso de AEP II e III do Grupo B, mediante aplicação do questionário PesdsQL NM.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
Soma Ranks	14.5000	18.5000	41.5000	43.0000	36.5000	35.0000
Mediana	70.5000	72.5000	100.0000	91.6000	85.0000	90.0000
Média Ranks	1.6111	2.0556	4.6111	4.7778	4.0556	3.8889
Média	64.0211	65.0211	85.1778	87.0111	80.0000	80.5556
DP	14.7772	16.2190	23.8702	16.2102	25.1247	24.1667
Friedman	23.0952					

Significância entre os pais da Amostra Caso e a Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo B segundo Teste Dunn

Comparações:	Diferença	<i>p</i>
Ranks 1 e 2	4	ns
Ranks 2 e 3	23	ns
Ranks 3 e 4	1.5	ns
Ranks 5 e 6	1.5	ns

6.3.3.8 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais - AEP tipo II e

III- Grupo C

No Grupo C, os escores médios da QVRS dos pacientes com AEP II e III (n=7), de 13 a 18 anos de idade, mediante a aplicação do questionário PedsQL versão pais, foram inferiores aos da Amostra Controle (Tabela 66).

Tabela 63. Estatística Descritiva dos dados do questionário PedsQL DNM versão pais da Amostra Caso de AEP II e III do grupo C e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	7	7	7	7	7	7
Mínimo	57.35	100	50	100	60	80
Máximo	80.88	100	100	100	90	100
Mediana	58.8	100	91.6	100	80	100
Média	65.17	100	83.31	100	77.85	94.28
Desvio	9	0	17.99	0	10	8

6.3.3.9 Significância do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo C

No grupo C, composto por pacientes com AEP, de 13 a 18 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais, houve significância no domínio *Quadro Físico* com $p=0.0009$, *Comunicação* com $p = 0.0127$ e *Recursos Familiares* com $p = 0.0076$ em relação aos pais da Amostra Controle, indicando melhor QVRS a este último, conforme Tabela 64.

Tabela 64. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso com AEP do Grupo C e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	7	7	7	7	7	7
Mediana	58.80	100.00	91.60	100.00	80.00	100.00
U	0.00		7.00		5.50	
Z	3.1305		2.2361		2.4277	
p	0.0009		0.0127		0.0076	

6.3.3.10 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente - AEP tipo

II e III- Grupo C

A Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C (n=7), composta por pacientes de 8 a 12 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente apresentou escores indicadores de QVRS menores do que os da Amostra Controle em todos os domínios (Tabela 65).

Tabela 65. Estatística Descritiva do escore geral do questionário PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de AEP II e III do grupo C (n=7) e Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
n	7	7	7	7	7	7
Mínimo	58.8	100	58.4	100	65	90
Máximo	79.41	100	100	100	90	100
Mediana	60.29	100	91.6	100	85	100
Média	66.37	100	86.88	100	80.71	96.42
DP	9	0	15	0	8	4

6.3.3.11 Significância do PedsQL NM versão pais – AEP tipo II e III do Grupo C

No grupo C, composto por pacientes com AEP, de 13 a 18 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente, houve significância no domínio *Quadro Físico* com $p=0.0009$, *Comunicação* com $p = 0.0127$ e *Recursos Familiares* com $p = 0.0013$ em relação à Amostra Controle, indicando melhor QVRS a este último, conforme Tabela 66.

Tabela 66. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM aplicado aos pacientes do Grupo C e controles.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos	Familiares
Amostra	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
n	7	7	7	7	7	7
Mediana	60.29	100.00	91.60	100.00	85.00	100.00
U	0.00		7.00		1.00	
Z	3.1305		2.2361		3.0027	
P	0.0009		0.0127		0.0013	

6.3.3.12 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – AEP tipo II e III do Grupo C

Mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente a um dos Pais de pacientes da Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C

(13 a 18 anos de idade) e da Amostra Controle, não houve variância nos diferentes domínios (Tabela 67).

Tabela 67. Variância entre pais e pacientes da Amostra Caso de AEP II e III do Grupo C, mediante aplicação do questionário PedsQL NM.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Caso	Pais Caso	Caso	Pais Caso	Caso
Soma Ranks	14.0000	19.0000	32.0000	33.5000	22.5000	26.0000
Mediana	58.8000	60.2900	91.6000	91.6000	80.0000	85.0000
Média Ranks	2.0000	2.7143	4.5714	4.7857	3.2143	3.7143
Média valores	65.1786	66.3714	83.3143	86.8857	77.8571	80.7143
Desvio padrão	9.8319	9.3998	17.9918	15.0740	10.3510	8.3808
Friedman	11.5918					

Significância entre os pais da Amostra Caso e a Amostra Caso de AEP tipo II e III do Grupo C segundo Teste Dunn.

Comparações:	Diferença	P
Ranks 1 e 2	5	Ns
Ranks 3 e 4	1.5	Ns
Ranks 5 e 6	3.5	Ns

6.3.3.13 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de AEP tipo II e III e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente

Na comparação da média dos escores de QVRS das Amostra Caso dos grupos A, B e C dos pacientes, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente, houve queda na média dos escores de QVRS gradual de A para C; em todos os grupos a QVRS permaneceu inferior a da Amostra Controle (Gráfico 48).

Gráfico 49. Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de AEP dos grupos A B e C e controles mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e versão paciente.

6.3.3.14 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso de AEP II e III e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente

O questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente foi aplicado a um dos pais de pacientes com AEP tipo II e III da Amostra Caso e aos próprios paciente dos grupos A, B e C. As significância foram expostas na Tabela 68. Na versão pais, em comparação das diferenças nas médias dos escores, mediante teste *Mann Whitney* todos os grupos e domínios apresentaram cinco resultados significantes, ou seja, 44% de domínios significantes, indicando que a QVRS da Amostra Caso permaneceu inferior a da Amostra Controle; na versão paciente todos os resultados foram

significantes. Lembrando que nesta versão não houve aplicação direta às crianças do Grupo A, entre 05 e 07 anos.

Tabela 68. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com AEP e Controle.

Pais	Quadro Físico	Comunicação	Recursos Familiares
AEP II e III			
Grupo A	0.0045	0.2654	0.4584
Grupo B	0.0002	0.1166	0.0560
Grupo C	0.0009	0.0127	0.0076

Paciente	Quadro Físico	Comunicação	Recursos Familiares
AEP II e III			
Grupo B	0.0009	0.1855	0.0238
Grupo C	0.0009	0.0127	0.0013

6.3.3.15 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais – DMC - Grupo A

Os dados da Amostra Caso do Grupo A de DMC (n=6), de cinco a sete anos de idade, comparados com os da Amostra Controle, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais, mostraram declínio gradual na média dos escores do Domínio *Quadro Físico* para os domínios *Comunicação* e *Recursos Familiares* (Tabela 69).

Tabela 69. Estatística descritiva dos escores do PedsQL versão pais da Amostra Caso de DMC do Grupo A da Amostra Controle .

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
Amostra						
n	6	6	6	6	6	6
Mínimo	80.8800	94.1000	91.6000	100.0000	90.0000	90.0000
Máximo	95.5800	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000
Mediana	86.1000	97.7850	100.0000	100.0000	95.0000	95.0000
Média	87.2683	97.7867	98.6000	100.0000	95.0000	95.8333
DP	6.1832	2.2366	3.4293	0.0000	4.4721	3.7639

6.3.3.16 Significância do PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo A

Na aplicação do questionário PedsQL NM versão pais de pacientes com DMC do grupo A (n=6), de cinco a sete anos de idade, houve significância no domínio *Quadro Físico* com $p=0.0045$, sinalizando melhor QVRS para pais da Amostra Controle (Tabela 70).

Tabela 70: Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão pais aplicado aos pais da Amostra Caso com DMC do Grupo A e aos pais da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
Amostra						
n	6	6	6	6	6	6
Mediana	86.76	98.52	100.00	100.00	100.00	100.00
U	0.00		9.50		12.00	
Z	2.6112		0.6267		0.1044	
p	0.0045		0.2654		0.4584	

6.3.3.17 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais – DMC - Grupo

B

A média dos escores da Amostra Caso de DMC do Grupo B (n=7), de oito a 12 anos de idade, comparada a Amostra Controle, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais, apresentou diferença dos escores médios de QVRS nos domínios *Quadro Físico* e *Recursos Familiares*; não houve diferença no domínio *Comunicação* (Tabela 71)

Tabela 71. Estatística descritiva dos escores do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso de DMC do Grupo B e aos pais da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	7	7	7	7	7	7
Mínimo	50.0000	100.0000	91.6000	100.0000	65.0000	80.0000
Máximo	89.7000	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000
Mediana	75.0000	100.0000	100.0000	100.0000	75.0000	100.0000
Média	70.7814	100.0000	97.6000	100.0000	81.4286	95.0000
DP	16.4695	0.0000	4.0988	0.0000	14.6385	8.6603

6.3.3.18 Significância do PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo B

No Grupo B, os escores dos pais dos pacientes com DMC, de oito a 12 anos de idade, acusam significância nos domínios *Quadro Físico* com $p = 0.0009$, *Recursos Familiares* com $p = 0.0205$, conforme Tabela 72.

Tabela 72. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL DNM aplicado aos pais de pacientes com DMC do Grupo B e pais da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos	Familiares
Amostra	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	7	7	7	7	7	7
Mediana	75.00	100.00	100.00	100.00	75.00	100.00
U	0.00		17.50		8.50	
Z	3.1305		0.8944		2.0444	
p	0.0009		0.1855		0.0205	

6.3.3.19 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo B

A média dos escores da Amostra Caso de DMC do Grupo B (n=7), de oito a 12 anos de idade, comparada com a Amostra Controle, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente, mostrou queda nos *Domínios Quadro Físico, Recursos Familiares e Comunicação* (Tabela 73).

Tabela 73. Estatística descritiva da QVRS mediante aplicação do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo B e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
Amostra						
N	7	7	7	7	7	7
Mínimo	50.0000	100.0000	75.0000	100.0000	65.0000	90.0000
Máximo	94.1100	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000
Mediana	73.5000	100.0000	100.0000	100.0000	75.0000	100.0000
Média	70.7686	100.0000	95.2286	100.0000	80.7143	97.8571
DP	16.8554	0.0000	9.4533	0.0000	14.5569	3.9340

6.3.3.20 Significância do PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo B

No Grupo B (n=7), os escores dos pais dos pacientes com DMC, de oito a 12 anos de idade, acusam significância nos domínios *Quadro Físico* com $p = 0.0009$, *Recursos Familiares* com $p = 0.0205$, conforme Tabela 74.

Tabela 74. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente aplicado aos pacientes com DMC do Grupo B e controles.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
Amostra						
n	7	7	7	7	7	7
Mediana	75.00	100.00	100.00	100.00	75.00	100.00
U	0.00		17.50		8.50	
Z	3.1305		0.8944		2.0444	
p	0.0009		0.1855		0.0205	

6.3.3.21 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – DMC do Grupo B

Mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente a um dos Pais de pacientes da Amostra Caso de DMC do Grupo B (8 a 12 anos de idade) e da Amostra Controle, não houve variância nos diferentes domínios (Tabela 75).

Tabela 75. Variância entre pais e Amostra Caso mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo B.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais	Caso	Pais	Caso	Pais	Caso
Amostra	Caso	Caso	Caso	Caso	Caso	Caso
Soma dos Ranks	16.5000	13.5000	36.5000	33.0000	24.0000	23.5000
Mediana	75.0000	73.5000	100.0000	100.0000	75.0000	75.0000
Média dos Ranks	2.3571	1.9286	5.2143	4.7143	3.4286	3.3571
Média dos valores	70.7814	70.7686	97.6000	95.2286	81.4286	80.7143
Desvio padrão	16.4695	16.8554	4.0988	9.4533	14.6385	14.5569
Friedman	16.4286					
Graus de liberdade	5					
<i>p</i>	0.0057					

Significância entre pais da Amostra Caso e Amostra Caso segundo Teste Dunn.

Comparações:	Diferença	<i>p</i>
Ranks 1 e 2	3	ns
Ranks 3 e 4	3.5	ns
Ranks 5 e 6	0.5	ns

6.3.3.22 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo

C

A média dos escores da Amostra Caso de DMC do Grupo C (n=5), de 13 anos a 18 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais, se apresentou inferior as da Amostra Controle nos domínios: *Quadro Físico*, *Comunicação* e *Recursos Familiares*. (Tabela 76).

Tabela 76. Estatística descritiva da QVRS mediante aplicação do PedsQL NM versão pais da Amostra Caso de DMC do Grupo C e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
n	5	5	5	5	5	5
Mínimo	47.0300	100.0000	50.0000	100.0000	50.0000	80.0000
Máximo	100.0000	100.0000	100.0000	100.0000	95.0000	100.0000
Mediana	77.9000	100.0000	100.0000	100.0000	85.0000	90.0000
Média	75.8680	100.0000	90.0000	100.0000	80.0000	89.0000
DP	18.8598	0.0000	22.3607	0.0000	17.6777	8.9443

6.3.3.23 Significância do PedsQL NM versão pais – DMC – Grupo C

No grupo C, da Amostra Caso de DMC (n=5), de 13 a 18 anos de idade, a análise do escore do questionário PedsQL NM versão paciente demonstrou significância no domínio *Quadro Físico* com $p = 0.0184$, o que indica melhor QVRS da Amostra Controle neste aspecto, conforme Tabela 77.

Tabela 77. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo C e da Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle	Pais Caso	Pais Controle
Amostra						
n	5	5	5	5	5	5
Mediana	77.90	100.00	100.00	100.00	85.00	90.00
U	2.50		10.00		9.00	
Z	2.0889		0.5222		0.7311	
P	0.0184		0.3008		0.2324	

6.3.3.24 Média, mediana, máxima e mínima PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo C

A média dos escores da Amostra Caso de DMC do Grupo C (n=5), de 13 anos a 18 anos de idade, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente foi inferior a da Amostra Controle em todos os domínios (Tabela 78).

Tabela 78. Estatística descritiva da QVRS mediante aplicação do PedsQL NM versão paciente da Amostra Caso de DMC do Grupo C e da Amostra Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
Amostra						
n	5	5	5	5	5	5
Mínimo	48.0500	100.0000	58.3000	100.0000	60.0000	85.0000
Máximo	98.5000	100.0000	100.0000	100.0000	90.0000	100.0000
Mediana	79.4000	100.0000	100.0000	100.0000	85.0000	100.0000
Média	76.3660	100.0000	89.9800	100.0000	81.0000	96.0000
DP	18.1876	0.0000	18.0793	0.0000	11.9373	6.5192

6.3.3.25 Significância do PedsQL NM versão paciente – DMC – Grupo C

Na Amostra Caso de DMC do Grupo C, mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão paciente, houve significância nos domínios *Quadro Físico* com $p = 0.0045$, *Recursos Familiares* com $p = 0.0184$, o qual indica melhor QVRS da Amostra Controle nestes aspectos (Tabela 79).

Tabela 79. Teste Mann Whitney para avaliar significância dos domínios do PedsQL NM versão paciente da Amostras Caso de DMC do Grupo C e da Controle.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos familiares	
	Caso	Controle	Caso	Controle	Caso	Controle
n	5	5	5	5	5	5
Mediana	79.40	100.00	100.00	100.00	85.00	100.00
U	0.00		7.50		2.50	
Z	2.6112		1.0445		2.0889	
P	0.0045		0.1481		0.0184	

6.3.3.26 Variância entre os escores obtidos da aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente – DMC do Grupo C

Mediante aplicação do questionário PedsQL DMD versão pais e versão paciente a um dos Pais de pacientes da Amostra Caso de DMC do Grupo C (13 a 18

anos de idade) e da Amostra Controle, não houve variância nos diferentes domínios (Tabela 80).

Tabela 80. Variância entre pais da Amostra Caso e Amostra Caso, mediante aplicação do questionário PedsQL NM do Grupo C de pacientes com DMC.

Domínios	Quadro Físico		Comunicação		Recursos Familiares	
	Pais Caso	Caso	Pais Caso	Pais Caso	Caso	Pais Caso
Amostra						
Soma dos Ranks	10.5000	11.0000	25.5000	24.5000	16.0000	17.5000
Mediana	77.9000	79.4000	100.0000	100.0000	85.0000	85.0000
Média dos Ranks	2.1000	2.2000	5.1000	4.9000	3.2000	3.5000
Média	75.8680	76.3660	90.0000	89.9800	80.0000	81.0000
Desvio padrão	18.8598	18.1876	22.3607	18.0793	17.6777	11.9373
Friedman	11.8000					
Graus Liberdade	5					

Significância entre pais da Amostra Caso e Amostra Caso segundo Teste Dunn.

Comparações:	Diferença	p
Ranks 1 e 2	0.5	ns
Ranks 3 e 4	1	ns
Ranks 5 e 6	1.5	ns

6.3.3.27 Síntese das médias dos escores da QVRS da Amostra Caso de DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente

Na comparação da média dos escores de QVRS da Amostra Caso do Grupo A, respondida por um dos pais, e das Amostras Caso dos Grupos B e C, respondida pelos pacientes mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão

paciente, houve queda na média dos escores de QVRS no Grupo C, seguida do Grupo B; em todos os grupos a QVRS permaneceu inferior a da Amostra Controle (Gráfico 49).

Gráfico 50. Comparação da média dos escores da QVRS das amostras de DMC dos grupos A B e C e controles mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e versão paciente.

6.3.3.28 Síntese das significância em QVRS da Amostra Caso DMC e da Amostra Controle mediante aplicação do PedsQL NM versão pais e paciente

O questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente foi aplicado a um dos pais de pacientes da Amostra Caso e aos próprios paciente com DMC dos grupos A, B e C. As significância foram expostas na Tabela 81. Na versão pais de pacientes

com DMC, dos três grupos e todos os domínios, houve somente três domínios significantes. Na versão paciente, nos grupos B e C, de todos os domínios, cinco domínios foram significantes; lembrando que nesta versão não houve aplicação direta às crianças do Grupo A, entre 05 e 07 anos.

Tabela 81. Síntese das significâncias de todos os domínios obtida mediante aplicação do questionário PedsQL NM versão pais e versão paciente aplicada aos pacientes com DMC e Controle.

Pais	Quadro Físico	Comunicação	Recursos Familiares
DMC			
Grupo A	0.0045	0.2654	0.4584
Grupo B	0.0009	0.1855	0.0205
Grupo C	0.0184	0.3008	0.2324
Paciente	Quadro Físico	Comunicação	Recursos Familiares
DMC			
Grupo B	0.0009	0.0127	0.0013
Grupo C	0.0045	0.1481	0.0184

6.4 Aplicação dos questionários FQoL e WHOQOL-Bref

6.4.1 Aplicação do instrumento FQoL aos pais das Amostras com DMD, AEP II e III e DMC

O escore médio dos domínios e geral da aplicação do instrumento FQoL aos cuidadores das Amostras com cada tipo de DNM (DMD, AEP tipos II e III e DMC),

conforme grupos etários A (5 a 7 anos de idade), B (8 a 10 anos de idade), C (11 a 13 anos de idade) e D (14 a 18 anos de idade). Esse questionário divide-se em domínios *Interação familiar*, *Parentalidade*, *Bem Estar Emocional*, *Bem Estar Físico* e *Auxílio à Deficiência*. Conforme Tabela 82 e Gráfico 50, a Qualidade de Vida familiar apresenta-se com melhores escores em pacientes com DMC, seguida pelas famílias dos pacientes com AEP e DMD.

Tabela 82. Média dos escores no diferentes domínios do FQoL aplicado aos pais das Amostras do Grupo A (5 a 7 anos de idade).

Domínio	Interrelação Familiar	Parentalidade	Bem Estar Emocional	Bem Estar Físico	Auxílio à Deficiência
DMD					
Grupo A	27.75	26	17.12	18.89	18.25
Grupo B	26.53	27.23	17.3	20.3	17.61
Grupo C	26.7	26.1	16.5	19,5	16.9
Grupo D	27,53	27,66	17,33	21,06	17,73
AEP					
Grupo A	30	29	18,5	21,5	18,25
Grupo B	28,8	27,4	18	21,6	18,6
Grupo C	27,42	28	15,71	19,42	16,85
Grupo D	26	26,25	17,5	18,75	17,75
DMC					
Grupo A	29,25	29,75	18,75	21,5	18,5
Grupo B	27,25	27,25	16,5	21,75	18
Grupo C	26,2	26,6	17	21,6	18
Grupo D	28,25	28,25	16,75	20,75	17

Gráfico 51. Média Geral dos escores do FQoL das Amostras Casos de DMD, AEP e DMC.

6.4.2 Aplicação do instrumento WHOQOL-Bref aos pais/cuidadores das Amostras com DMD, AEP e DMC

A Tabela 83 e o Gráfico 51 mostram os escores médios da aplicação do questionário WHOQOL-Bref relativo à QVRS dos cuidadores das Amostras Caso com DMD, AEP ou DMC conforme grupos etários A (5 a 7 anos de idade), B (8 a 10 anos de idade), C (11 a 13 anos de idade) e D (14 a 18 anos de idade), nos domínios *Físico*, *Psicológico*, *Social* e *Ambiente*. Conforme tabela XX, a QV das mães/cuidadoras de pacientes com DMC apresenta-se com melhores escores do que a das mães/cuidadoras de pacientes com DMD, seguida pelas mães/cuidadoras dos pacientes com AEP tipo II e III.

Tabela 83. Escores médios da aplicação do questionário WHOQoL aos pais das Amostras com DMD, AEP ou DMC dos Grupos A, B, C e D.

Domínio	Físico	Psicológico	Social	Ambiente	Geral
DMD					
Grupo A	85.3	74.5	69.8	67	74,15
Grupo B	82.1	73.1	77.6	70.4	73.6
Grupo C	78.3	73.1	71.6	69.3	73.3
Grupo D	82.7	74.8	74.1	70.1	75.4
AEP					
Grupo A	92.9	74.0	75.0	73.5	78.8
Grupo B	90.0	78.3	73.3	74.3	79.0
Grupo C	68.7	63.7	63.1	54.9	61.0
Grupo D	67.0	61.5	64.6	53.9	61.7
DMC					
Grupo A	92.0	75.0	79.2	72.7	79.7
Grupo B	85.7	74.0	72.9	72.7	76.3
Grupo C	78.6	80.0	75.0	76.9	77.6
Grupo D	85.7	70.8	75.0	70.3	75.5

Gráfico 52. Média Geral dos escores do WHOQOL das Amostras Casos de DMD, AEP e DMC.

7.1 Validação

Conforme Olweny, 1999, a QVRS inclui uma variedade de condições que podem afetar percepção, sentimentos e comportamentos do indivíduo relacionados com a funcionalidade diária, incluindo, mas não se limitando, à condição de saúde e intervenções médicas.

Em estudo anterior sobre QVRS de pacientes com DMD observou-se, através da aplicação do questionário LSI-A que os aspectos psicológicos sobrepujam os físicos na determinação da QVRS (Simon et al., 2011).

No presente estudo, foi feita a validação do LSI-A e PedsQL Módulo DMD, sendo o primeiro mais subjetivo. Para o processo de validação, adotou-se padrão ouro que, segundo Henegham & Badenoch 2007, é a utilização de um padrão de referência ou a repetição de uma série de testes que devem expressar os valores da medida através da acurácia. Porém, deve-se considerar a influência cultural de cada país ou possíveis circunstâncias que interfiram nos resultados.

Também procedeu-se à validação do LSI-A para outras DNMs: AEP II e III e DM tipo Cinturas.

A validação do PedsQL DMD obedeceu às etapas propostas por Guillemim et al. (1993); quanto à tradução, optou-se por uma menos literal e pela inclusão da *técnica Probe* entre as etapas de tradução e retroversão. Estas modificações foram adotadas por serem mais próximas ao mundo dos pacientes e mais eficazes ao

processo. A tradução não literal, por ser mais adequada culturalmente, torna-se mais compreensível ao entrevistado e acessível à população alvo. Pressupôs-se que a aplicação da *técnica Probe*, no início do processo, tornaria o resultado mais fidedigno à cultura do país. Na validação dos questionários *Arthritis Impact Measurement Scales* (AIMS) e *Health Assessment Questionnaire* (HAQ) também foi utilizada a técnica Probe, por ser importante, segundo Guillemim et al., 1993, pela contribuição ao processo de adaptação cultural.

Para serem validados para o português do Brasil, os questionários LSI-A e PedsQL DMD, foram traduzidos por profissional especializado em língua inglesa e por tradutor juramentado (Etapa 2). Feita a comparação entre as traduções, notou-se que a tradução pela especialista mostrou-se não literal e mais adequada culturalmente do que a tradução juramentada. Barbosa et al., 2009, em processo de validação do questionário *Child Perceptions Questionnaires*, já haviam adotado a tradução não literal.

Para alcançar compreensão satisfatória, aplicou-se a *técnica Probe* em três fases a três grupos de 20 pacientes. O LSI-A apresentou porcentagem de compreensão de satisfatória a alta: 69.45%, 78.54% e 88% (Tabela 6). Visando o aperfeiçoamento do instrumento, durante essas aplicações foi realizada adaptação cultural: equivalências semântica, idiomática, conceitual e experimental.

A validação do questionário PedsQL DMD passou pelo mesmo processo, tendo sido alcançados níveis de compreensão de 73.56%, 83.42% e 92.6% nas três fases, respectivamente (Tabela 7). A *técnica Probe*, aplicada a ambos os questionários, foi encerrada quando o nível de compreensão dos instrumentos atingiu 85%.

Uma vez alcançados níveis satisfatórios de compreensão para o LSI-A e PedsQL DMD, passou-se para a etapa da retroversão (Etapa 4). A versão em português, resultante da técnica Probe, foi traduzida para o inglês e comparada à original, constatando-se equivalência linguística.

Após esta etapa, a versão resultante do Probe passou pelo crivo do comitê de revisão (Etapa 5) que sugeriu algumas mudanças.

A Etapa 6 dividiu-se em dois momentos: no primeiro momento foi confirmada a compreensão das versões em português dos questionários, resultante do *Probe*. Quanto ao LSI-A, houve 97.39% de compreensão e ao PedsQL DMD, 99.1%.

No segundo momento da Etapa 6, houve a aplicação dos questionários LSI-A e PedsQL NM aos pacientes com outras DNM, para, na Etapa 7, realizar-se os cálculos estatísticos referentes à validação (consistência interna e externa).

No caso do LSI-A (*teste Alpha de Cronbach*), a consistência interna das questões foi entre 0,73 a 0,8. Em comparação à versão original (Renwick & Reid 1994), com $\alpha=0,88$, o presente estudo indicou consistência alta nos diferentes domínios (Tabela 10).

Em relação ao PedsQL DMD, Versão Pais e Versão Paciente, os resultados de *alpha de Cronbach* denotam alta consistência dos itens (Tabela 11). Na versão original (Uzark et al., 2012) foram $\alpha= 0.85$ para os pacientes e $\alpha=0,87$ para os cuidadores. Ambos os valores, tanto do original, quanto deste estudo foram equivalentes, indicando alta consistência interna.

A consistência externa do questionário LSI-A versão paciente foi detectada mediante *Teste de Correlação Linear de Pearson* aplicado às amostras pais e inter

observadores: $r = 0.9841$ no Escore Geral com IC 95% sinalizou forte magnitude de relação (Tabelas 12 e 13).

O *Teste de Correlação Linear de Pearson* aplicado às amostras paciente e inter observadores, apresentou correlação linear $r = 0.9778$ no Escore Geral com IC 95%, também sinalizando forte magnitude de relação (Tabelas 14 e 15). Na versão original, o questionário também apresentou forte correlação (Renwick & Reid 1994).

Assim como na versão original do questionário LSI-A a presente validação a pais e pacientes apresentou boa consistência externa na confiabilidade inter observadores.

A aplicação do PedsQL DMD a pais por inter observadores, adotando intervalo de confiança de 0,93 a 0,98 (IC 95%), resultou em $r = 0,9913$ no Escore Geral (Tabelas 16 e 17), o que sinaliza forte correlação linear. Em sua versão original de aplicação a pais o questionário mostrou $r = 0.64$ (Uzark et al., 2012).

O PedsQL DMD aplicado por interobservadores a pacientes, adotando intervalo de confiança de 0,93 a 0,98 (IC 95%), mostrou $r = 0,9934$ no Escore Geral (Tabelas 18 e 19). Na sua versão original mostrou $r = 0.63$.

As versões validadas do questionário PedsQL DMD revelaram, igualmente às originais, boa consistência externa quanto à confiabilidade intraobservadores.

Ainda em relação à consistência externa, o segundo tópico, refere-se à confiabilidade do instrumento. Os autores do LSI-A (Renwick & Reid, 1994) mencionam que este obteve boa reprodutibilidade.

No presente estudo de validação do LSI-A para a língua portuguesa, quanto à reprodutibilidade pais e intraobservador, o valor total do CIC foi 0,993 e quanto à reprodutibilidade pacientes e intraobservador, o valor de CIC foi 0,987.

Portanto, a validação das versões pais e pacientes do LSI-A apresentou boa consistência externa à confiabilidade do instrumento, sinalizando excelente reprodutibilidade, conforme critério Shrout & Fleiss, 1979.

Em relação à reprodutibilidade total do PedsQL DMD, o CIC foi 0.98 para pais e 0.99 para pacientes (Tabelas 24 e 26). De acordo com os critérios estabelecidos por Shrout & Fleiss, 1979, os valores do teste CIC obtidos neste estudo são de alta reprodutibilidade. Também houve boa consistência externa quanto à confiabilidade do instrumento; na validação do questionário original, o CIC foi 0.85 e 0.75, para pais e pacientes, respectivamente (Uzark et al., 2012).

Ponto de corte, sensibilidade e especificidade, e acurácia dos instrumentos LSI-A e PedsQL DMD foram avaliadas através do teste *Receiver Operating Characteristic Curve ROC*.

Segundo Yamaguchi et al., 2010, o ponto de corte indica mudança clínica dos pacientes, servindo de referência. Na aplicação do LSI-A versão pais e versão paciente, a média do ponto de corte entre os domínios era respectivamente 37 e 35.8, sendo que valores maiores sinalizaram aumento da QVRS (Tabela 18). No PedsQL DMD, versão pais e versão paciente, a média do ponto de corte do escore geral, respectivamente, foi 88 e 90, de modo que valores superiores a este indicaram melhor QVRS.

Em ambos os instrumentos, a sensibilidade e a especificidade foram significantes, pois conforme pode ser visualizado nos Gráficos 23 a 32 mantiveram-se, acima da linha diagonal de referência.

A acurácia também manteve-se no mesmo patamar: no LSI-A versão pais e versão paciente foi, em média, superior a 60%, e no PedsQL versão pais e versão paciente, superior a 80%, ou seja, os instrumentos aferiram adequadamente a QV.

Os valores da acurácia obtidos em ambos os questionários foram satisfatórios, mas diferem por externarem enfoques distintos. Enquanto no LSI-A o teor das questões é mais subjetivo, privilegiando o lado psicológico, no PedsQL Duchenne o teor é mais objetivo, privilegiando aspectos físicos (Tabelas 28 e 29).

A objetividade ou a subjetividade das questões influencia diretamente os valores da sensibilidade, especificidade e acurácia do teste ROC. Quanto mais objetivas as questões, mais altos serão os valores, impossibilitando interpretações distintas à proposta do questionário. Contudo, a subjetividade, embora passível de nuances, é importante para verificar com maior efetividade o grau de QVRS dos grupos envolvidos no estudo.

7.2 Aplicação

O instrumento LSI-A versão pais e versão aplicado aos pacientes com DMD evidenciou QVRS prejudada em todos os domínios e grupos quando comparada aos controles. O baixo índice desta nos pacientes com DMD pode, em parte, ser devido à propensão dos mesmos a desenvolverem distúrbios psicopatológicos. Zachi et al., 2012, relatam problemas psicológicos e comportamentais em pacientes com DMD, tais como: isolamento, autodepreciação,

marginalização, insegurança, ansiedade, labilidade afetiva, e depressão. Sintomas psiquiátricos/somáticos e dificuldades escolares correlacionaram-se com limitação motora e idade. Portanto, no presente estudo pode-se supor que a evolução inexorável da doença, mesmo mitigada pela corticoterapia e pelo atendimento multimodal, leva o paciente a desenvolver transtornos psicopatológicos ou a intensificar aqueles geneticamente determinados pela mutação do gene da distrofina, os quais interferem na capacidade de percepção da vida e do entorno.

De acordo com a Tabela 42, a média dos escores do domínio *Bem Estar Geral* e *Desenvolvimento Pessoal* sofreu queda inexpressiva do Grupo A, de menor idade, para o B e C, com uma leve recuperação do valor médio no Grupo D, de maior idade. Assim, os pacientes com esse quadro de natureza progressiva apresentam impacto psicológico no domínio *Desenvolvimento Pessoal* até os 13 anos de idade e uma intensificação de diálogo intrapessoal a partir dos 14 anos de idade que se reflete positivamente no *Relacionamento Interpessoal*, ou seja, com as pessoas de convívio cotidiano.

No domínio *Realização Pessoal* houve aumento do escore médio do grupo A para B e C e pequena queda no grupo D. Em relação ao grupo Controle, pode-se inferir que há uma insatisfação notável devido à situação dos pacientes, os quais, por não terem trabalho ou ocupação significativa, apresentam menor QVRS, conforme foi também observado por Boström & Ahlström, 2005.

Já no domínio *Lazer e Recreação*, os valores dos grupos A ao D indicam pequena progressão da QVRS nos grupos A e B, mínima diminuição no grupo C e, em seguida, ascensão no Grupo D. Estes escores podem estar relacionados a

investimentos de instituições públicas e privadas ao acesso as áreas de lazer e recreações àqueles com necessidades especiais. Outros possíveis fatores que podem estar relacionados são o acesso à cadeira de rodas e à informática.

Na média dos escores, em relação à Amostra Controle, houve significância em todos os domínios (exceto Bem Estar Geral – Grupo C), sinalizando a pior QVRS dos pacientes com DMD (Tabela 43).

O LSI-A aplicado aos pacientes com AEP (Tabela 42 e 43), de forma similar aos pacientes com DMD, mostrou queda significativa da média dos escores do Grupo A (somente pais) para B e C (pacientes), com recuperação no grupo D. Logo, os Grupos A e D tiveram melhor QVRS quando comparados aos Grupos B e C. No Grupo A de pacientes com AEP tipo II os pais responderam ao questionário e, provavelmente, ainda não percebiam a plenitude da limitação pelo fato dos filhos serem pequenos ou ainda mantinham expectativas de que pudesse ocorrer melhora e desenvolver-se a marcha. Os pacientes dos Grupos B e C, devido à idade, ainda não desenvolvem habilidade de estabelecer estratégias para se adaptar às situações vivenciadas, teoria defendida por Boyer et al., 2006. Esta habilidade ocorre posteriormente, com a maturação cognitiva e emocional do indivíduo. Provavelmente, isto justifica o porquê do Grupo D, dos pacientes maiores, sinalizar melhor QV, uma vez que estão cognitivamente mais preparados a vivenciar positivamente as situações. Também Devinsky et al., 1999, afirmam que a maturação cognitiva é responsável pela adaptação à situação, estabelecendo mudanças positivas na QVRS. Na mesma linha, Smith et al., 2015, sugeriram que o amadurecimento da conectividade entre áreas cerebrais pode estar relacionada com melhor QVRS.

Os pacientes com AEP tipo II ou III, no domínio *Relacionamento Interpessoal*, demonstraram significância em relação aos controles somente no Grupo D. A falta de significância nos demais domínios indicou melhor QVRS nesses pacientes (Tabela 43). Em contraposição aos pacientes com DMD que possuem propensão a quadros psicopatológicos pode-se supor que nos pacientes com AEP, o SNC não prejudicado, repercurte em uma melhor QVRS. Segundo Devinsky et al., 1999; Boyer, et al., 2006; Smith et al., 2015, conexões neurais íntegras permitem estabelecer relacionamento interpessoal mais efetivo que influencia positivamente a QV. Assim, em pacientes com AEP a melhor condição psicológica provavelmente contribui positivamente na habilidade psicossocial destes pacientes.

No domínio *Realização Pessoal*, nos Grupos A, B e C houve diminuição do escore médio, provavelmente pela insatisfação dos pacientes em serem limitados à realização de diversas atividades. Segundo, Boström & Ahlström, 2005, os pacientes com DNM têm menos energia, autoconfiança, auto-aceitação e experiências emocionais; por não terem atividades que lhes satisfaçam, ocorre menor QVRS. Porém, houve ascensão no escore médio da QVRS no Grupo D que, provavelmente, está, cognitivamente, mais maduro e preparado a lidar com as circunstâncias da vida.

Embora diante do escore médio haja melhora da QVRS no Grupo D, a diferença favorável aos controles permanece notória, principalmente no domínio *Realização Pessoal* (Tabela 43). Em comparação aos pacientes com DMD, aqueles com AEP apresentaram significância em menor número de, revelando melhor QVRS.

Os resultados decorrentes da aplicação do LSI-A a pacientes com DMC foram semelhantes àqueles com AEP. No Grupo A não houve significância, ou seja, a QVRS

foi semelhante à da Amostra Controle; isto possivelmente se deve ao quadro clínico que é menos limitante nos primeiros anos de evolução. A QVRS decai nos Grupos B e C, recuperando-se novamente no D. Igualmente ao ocorrido com os pacientes com AEP, é provável que a maturação cognitiva tenha propiciado maior satisfação pessoal e bem estar.

A QVRS das Amostras Caso de AEP e DMC foi semelhante, porém mais favorável na Amostra Caso de DMC, pois esta apresentou diferença com significância em menor número de domínios. Em relação à Amostra Controle, a intensidade da diferença foi menor do que nos pacientes com AEP.

Estas diferenças das médias do escore entre DMD, AEP e DMC, talvez se devam à variabilidade do quadro clínico, pois alguns pacientes com DMC perdem a capacidade de deambulação independente precocemente, já na segunda década ou no final da primeira, enquanto em outros o quadro sintomático é lentamente progressivo e os pacientes mantêm boa funcionalidade (Cotta et al., 2014; Wicklund et al., 2014; Narayanaswami et al., 2014). A recuperação da QVRS pelos pacientes do Grupo D, apesar de nestes as manifestações clínicas estarem mais acentuadas, explica-se, igualmente ao que foi exposto em relação às Amostras Caso de DMD e AEP, pelo fato de que a partir da adolescência o amadurecimento cognitivo e emocional permite aceitar melhor a situação de limitação física e desenvolver estratégias para vivenciá-la (Devinsky et al., 1999; Boyer, et al., 2006; Smith et al., 2015).

Em suma, os resultados do LSI-A indicam ser possível que o desenvolvimento cognitivo contribua, de maneira positiva, para melhor percepção e reação diante da situação vivida. Nos pacientes com DMD, a propensão a desenvolverem problemas

psicológicos, provavelmente impossibilitou uma melhor QVRS; nos pacientes com AEP tipo II e III e DMC, conforme resultados apresentados, os adolescentes, com maior amadurecimento cognitivo, demonstraram habilidade para se adaptar positivamente à realidade.

Os resultados da aplicação do PedsQL DMD, igualmente à aplicação do LSI-A à Amostra Caso de DMD, evidenciaram significância (exceto no domínio *Comunicação* do Grupo A) favorável ao Controle, sinalizando, na opinião dos cuidadores, pior QVRS para a Amostra Caso. Também segundo os pacientes, a QVRS da Amostra Caso foi totalmente inferior à da Amostra Controle (Tabela 54).

Quando se analisa a média dos escores, nota-se que o decréscimo na QVRS no geral, torna-se maior conforme o avançar da idade da criança/adolescente com DMD, com exceção dos domínios *Tratamento* e *Comunicação*, nos quais recupera-se no Grupo D, tanto na versão pais quanto na versão paciente. Não houve variância significativa entre as repostas a ambas as versões.

O declínio da QVRS conforme o avanço da idade, possivelmente, justifica-se pelo estresse psicológico e físico aos quais os pacientes estão sujeitos. Dos grupos A ao C, nota-se que os pacientes, no decorrer do acompanhamento, não se habituem à rotina de tomar medicação que requer mudanças no hábito diário. Além disso, os pacientes ficam céticos, à medida que o quadro progride, quanto à eficácia desta medicação sobre o quadro clínico (Tabelas 44, 46 e 50).

A ascensão na média dos escores no Grupo D, nos domínios *Tratamento* e *Comunicação*, possivelmente se justifica pela melhor compreensão dos pacientes no decorrer da idade, visto que as questões relativas a estes domínios são estritamente

objetivas à relação profissional de saúde - paciente; este último, à medida que cresce, vai sentindo-se mais preparado para respondê-las.

O questionário PedsQL versão pais e versão paciente, tanto no módulo Duchenne (DMD) quanto no Neuromuscular (NM), inclui questões objetivas, direcionadas a situações específicas do quadro, sem envolver aspectos psicossociais e educacionais.

Na aplicação do do instrumento PedsQL NM não houve variância entre as opiniões dos pais e dos pacientes com AEP. A QVRS dos pacientes foi inferior quando comparados aos controles, com significância desta diferença em termos gerais em mais da metade dos escores (Tabela 67). Somente o domínio *Quadro Físico* que evidencia as limitações físicas, mostrou diferença significativa em todos os grupos, dado explicável quando se leva em consideração a sintomatologia da AEP.

No domínio *Comunicação* houve significância favorável à QVRS da Amostra Controle para pacientes acima de 13 anos de idade (Grupo C): os pacientes adolescentes não se sentem à vontade para conversar sobre o problema neuromuscular com o profissional de saúde. Talvez se o teor das questões fosse mais amplo (atividades preferidas, amigos), seriam obtidos outros escores.

Também ocorreu significância favorável aos controles no domínio *Recursos Familiares* a partir dos 13 anos de idade (Grupo C), pois, por volta desta idade, ocorre agravamento dos sintomas dos pacientes, o que torna as crianças mais vulneráveis (Faravelli, I. *et al.*, 2015; Mercuri *et al.*, 2012; 2016). Segundo relato dos pais, os recursos familiares diminuíram, pois um dos membros do casal precisou deixar de exercer as atividades profissionais para dedicar-se aos cuidados do filho(a)

acometido(a). Portanto, nestes casos, os gastos com a manutenção da saúde da criança aumentam, porém os recursos financeiros diminuem. Estes resultados se alinham com Guidotti & Lean, 2001, os quais enfatizam a diminuição de recursos financeiros de famílias com pacientes incapacitados.

No PedsQL NM aplicado à Amostra Caso de DMC, não houve variância entre as opiniões dos pais e dos pacientes. (Tabela 80). Em termos gerais, ocorreu diferença da QVRS dos pacientes em relação aos controles em mais da metade dos escores.

O domínio *Quadro Físico* mostrou significância em todos os grupos (A, B e C) em comparação aos controles, devido às limitações físicas que se intensificam no decorrer da idade. Straub V; Bertoli, 2016, enfatizam a urgente necessidade de se dispor o mais precocemente possível de opções terapêuticas efetivas para as DNM.

A habilidade comunicativa (domínio *Comunicação*) na relação entre os pacientes e os médicos e profissionais de saúde foi satisfatória, conforme sinalizado pela média dos escores obtidos dos pais e dos pacientes de todos os grupos, exceto o Grupo B, versão paciente, possivelmente devido à mesma situação da DNM anterior.

No domínio *Recursos familiares* a QVRS foi prejudicada de acordo com os relatos dos pais dos pacientes do Grupo B e dos próprios pacientes, provavelmente devido ao que já foi exposto em relação à amostra de AEP e salientado por Guidotti; Lean, 2001.

Pode-se verificar que, independentemente do questionário utilizado, a QVRS apresentou resultados aproximados quando se trata da mesma DNM. Conforme já destacado, o questionário LSI-A evidencia aspectos mais subjetivos, enquanto o PedsQL, mais objetivos; essa diferença pode ser verificada perceptivelmente pelas

médias dos escores decorrentes da aplicação destes questionários. Nas respostas ao PedsQL, por ser um questionário que aborda aspectos mais objetivos, houve significância em maior número de domínios; mediante a aplicação do LSI-A, por este destacar aspectos psicossociais, comportamentais, psicológicos e educacionais obteve-se menor número de domínios com significância. Portanto, no LSI-A a sinalização da QVRS foi menos desfavorável à Amostra Caso do que no PedsQL.

Na aplicação do FQoL, relativo aos aspectos familiares às mães/cuidadoras de pacientes com AEP tipos II ou III ou DMC (Tabela 81), as médias dos escores dos grupos A, B, C e D (divisão igual ao LSI-A) decaíram do Grupo A para o D em todos os domínios (*Interação Familiar, Parentalidade, Bem Estar Emocional, Bem Estar Físico e Material e Auxílio à Deficiência*; o mesmo ocorreu para às famílias dos pacientes com DMD, mas houve recuperação do Grupo D. O domínio *Bem Estar Material/físico*, em todas DNMs e grupos, apresentou menor média de escore. No domínio *Parentalidade e Interação Familiar* houve escore satisfatório, indicando interação dos membros do núcleo familiar. Supõe-se que houve estabilidade do relacionamento familiar, mesmo frente à DNM que se impõe de forma progressiva e irreversível.

No geral, a média dos escores de QV da família indicou melhor QV para a Amostra Caso de DMC, seguida pela de AEP e pela de DMD. Os escores obtidos na aplicação do FQoL estiveram próximos daqueles relatados pelos pacientes de cada Amostra Caso das DNMs avaliadas.

A média dos escores obtidos pela aplicação do questionário WHOQOL-Bref (Tabela 82) revelou que a QV das mães/cuidadoras de pacientes de todos os grupos

nos domínios *Psicológico, Social e Ambiente* foi mais baixa do que no domínio *Físico*. Com o decorrer do tempo, houve maior impacto negativo da doença do paciente sobre a QV da mãe/cuidadora. Estes dados concordam com outros estudos (Hwand & Koo, 2010; Çakalozet al., 2010, e Moura el al., 2015), que comprovam que a QV das mães/cuidadoras de pacientes com DNM é muito baixa.

A média geral dos escores sinalizou que a QV das mães/cuidadoras de pacientes com AEP foi inferior à das mães/cuidadoras de pacientes com DMD, que por sua vez foi inferior à das mães/cuidadoras dos pacientes com DMC. É possível supor que os escores de QV das mães/cuidadoras cujos filhos ficaram fisicamente prejudicados mais precocemente, como é o caso dos pacientes com AEP, mostrem menores valores em relação à QV das outras mães/cuidadoras.

8. LIMITAÇÕES

Este estudo teve como limitação a não aplicação de formulário sócio econômico; e o não levantamento de possível ocorrência de transtorno psicológico e respectivo acompanhamento.

A não aplicação longitudinal dos questionários aos sujeitos envolvidos nesta pesquisa.

A não avaliação, por tipo, da qualidade de vida relacionada à saúde das DNMs: AEP II e III e de DMC (calpainopatias e sarcoglicanopatias, disferlinopatias, alfa-distroglicanopatias e teletoninopatias).

9. CONCLUSÕES

1. Conforme os dados psicométricos – Consistência Interna, Consistência Externa e Sensibilidade e Especificidade – os questionários são válidos para avaliar a QVRS de pacientes com DNM:
 - a. LSI-A, versão pais de pacientes entre 5 e 18 anos de idade e versão paciente com DMD, AEP tipos II e III ou DMC entre 8 e 18 anos de idade
 - b. PedsQL DMD, versão pais de pacientes entre 5 e 18 anos de idade e versão paciente entre 8 e 18 anos de idade.
2. A QVRS, avaliada pelos questionários acima e pelo PedsQL NM apresentou-se mais satisfatória nos pacientes com DMC, seguidos pelos pacientes com AEP tipo II e III e, por último, pelos pacientes com DMD.
3. A QV das famílias de pacientes com DMD, AEP tipo II e III ou DMC apresentou-se reduzida principalmente no aspecto de bem estar material/físico, particularmente no caso das famílias dos pacientes com DMD.

A QV das mães dos pacientes, independentemente do tipo de DNMs avaliada, decresceu conforme o aumento da idade dos pacientes quanto aos aspectos psicológicos, sociais e ambientais, com exceção do aspecto físico. A QV das mães dos pacientes com AEP mostrou-se proporcionalmente mais prejudicada.

10. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

Abi Daoud MS, Dooley JM, Gordon KE. Depression in parents of children with Duchenne muscular dystrophy. *Pediatr Neurol*. 2004; 31: 16–19.

Arnold WD, Burghes AH. Spinal muscular atrophy: development and implementation of potential treatments. *Annals Neurology*. 2013; 74: 348-62.

Bandeira M, Calzavara MGP, Costa CS, Cesari L. Avaliação de serviços de saúde mental: adaptação transcultural de uma medida da percepção dos usuários sobre os resultados do tratamento. *J Bras Psiquiatr*. 2009; 58: 107-14.

Bann CM, Abresch RT, Biesecker MSB, Conway KC, Heatwole C, Peay H, Scal P, Strober J, Uzark K, Wolff J, Margolis M, Blackwell A, Street N, Montesanti A, Bolen J. Measuring quality of life in muscular dystrophy. *Neurology*. 2015; 84: 1034-1042.

Barbosa TS, Tureli MC, Gavião MB. Validity and reability of the Child Perceptions Questionnaires applied in Brazilian children. *BMC, Oral Health*, 2009; 9, 13.

Bendixen RM, Senesac C, Lott DJ, Vandenborne K. Participation and quality of life in children with Duchenne muscular dystrophy using the International Classification of Functioning, Disability, and Health. *Health Qual Life Outcomes*. 2012; 10: 43.

Biggar WD, Harris VA, Eliasoph L, Alman B. Long-term benefits of deflazacort treatment for boys with Duchenne muscular dystrophy in their second decade. *Neuromuscular Disorders*. 2006; 16: 249-255.

Boyer F, Drame M, Morrone I, Novella JL. Factors relating to carer burden for families of persons with muscular dystrophy. *J Rehabil Med*. 2006; 38: 309-315.

Boström K, Ahlström G. Quality of life in patients with muscular dystrophy and their next of kin. *Int J Rehabil Res*. 2005; 28: 103-9.

Bray P, Bundy AC, Ryan MM, North KN, Burns J. Health status of boys with Duchenne muscular dystrophy: A parent's perspective. *Journal of pediatrics and child health*. 2011; 47, 557-562.

Bridwell KH, Baldus C, Iffrig TM. 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; 24: 1300-1309.

Bullinger M, Anderson R, Cella D. Developing and evaluating cross-cultural instruments from minimum requirements to optimal models. *Qual Life Res*. 1993; 2: 451-9.

Burns TM, Graham CD, Rose MR, Simmons Z. Quality of life and measures of quality of life in patients with neuromuscular disorders. *Muscle & nerve*. 2012; 46: 9-25.

Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and pharmacological and psychosocial management. *Lancet Neurol*. 2010; 9: 77-93.

Bushby K, Finkel R, Birnkrant DJ, et al. Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 2: implementation of multidisciplinary care. *Lancet Neurol*. 2010; 9: 177-89.

Çakanoz, Burcu, et al. *Duchenne muskuler distrofi ve dikkat eksikliği hiperaktivite bozukluğu olan çocukların annelerinin yaşam kaliteleri: Quality of life in mothers of children with duchenne muscular dystrophia and attention defi cit hyperactivity disorder*. Pamukkale Üniversitesi Tıp Fakültesi, 2010.

Chassany O, Sagnier P, Marquis P, et al. Patient – reported outcomes: The example of health-related quality of life. A European guidance document for the improved integration of health related quality of life assessment in the drug regulatory process. *Drug Inf J*. 2002; 36: 209-38.

Clark P, Lavielle P, Martinez H. Learning from pain scales: patient perspective. *J Rheumatol*. 2003; 30: 1584-8.

Cotta A, Carvalho E, Júnior ALC, Paim JF, Navarro MM, Valicek J, Menezes MM, Nunes SV, Neto RX, Takata RI, Vargas AP. Common recessive limb girdle muscular dystrophies differential diagnosis: why and how? *Arq Neuropsiquiatr*. 2014; 72: 721-734.

Cotton S, Voudouris NJ, Greenwood K M. Intelligence and Duchenne muscular dystrophy: Full-Scale, Verbal, and Performance intelligence quotients. *Developmental Medicine & Child Neurology*. 2001; 43, 497-501.

Crocker TF, Smith JK, Skevington SM. Family and professionals underestimate quality of life across diverse cultures and health conditions: systematic review. *J Clin Epidemiol*. 2015; 68: 584-95.

Cronbach LJ. Coefficient alpha and the internal structure of tests. *Psychometrika* 1951; 16: 297-334.

Crowley R, Wolfe I, Lock K, McKee M. Improving the transition between paediatric and adult healthcare: a systematic review. *Arch Dis Child*. 2011; 96: 548-553.

Darras BT. Spinal Muscular atrophies. *Pediatr Clin N Am*. 2015; 62:743-766.

Davis SE, Hynan LS, Limbers CA, Andersen CM, Greene MC, Varni JW, Iannaccone ST. 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 Neuromuscul Dis*. 2010; 11: 97-109.

Devinsky O, Cramer J, Baker G. The comprehensive CD-rom on Epilepsy. Quantitative measures of assessment. Philadelphia: Lippincott Williams & Wilkins, 1993.

d'Ydewalle C, Sumner CJ. Spinal Muscular Atrophy Therapeutics: Where do we Stand? *Neurotherapeutics*. 2015; 12: 303-16.

Ebrahim J. Clinical and public health perspectives and applications of health related quality of life measurement. *Soc Sci Med*. 1995; 41: 1383-94.

Eiser C & Morse R. Quality of Life Measures in Chronic Diseases of Childhood. *Health Technol Assess*. 2001a; 5: 6-162.

Eiser C & Morse R. A review of measures of quality of life for children with chronic illness. *Arch Dis Child*. 2001 b; 84: 205-11.

Eiser C & Morse R. The measurement of quality of life in children: Past and future perspectives. *J Dev Behav Pediatr*. 2001 c; 22: 248-56.

Faravelli I, Nizzardo M, Comi GP. Spinal muscular atrophy—recent therapeutic advances for an old challenge. *Nat. Rev. Neurol*. 2015; 11, 351-359.

Finkel R, Bertini E, Muntoni F, Mercuri, E et al. 209th ENMC international workshop: outcome measures and clinical trial readiness in spinal muscular atrophy. *Neuromuscul Disord*. 2015; 25: 593-602.

Flanigan KM. Duchenne and Becker muscular dystrophies. *Neurol Clin*. 2014; 32: 671-88.

Fleck MPA, Louzada S, Xavier M, Chamovich E, Vieira G, Santos L, Pinzon V. Aplicação da versão em português do instrumento abreviado de avaliação da qualidade de vida “WHOQOL-brief”. *Revista de saúde pública*. 2000; 34: 178-183.

Gandek B, Ware JE Jr. Methods for validating and norming translations of health status questionnaires: the IQOLA Project approach. International Quality of Life Assessment. *J Clin Epidemiol*. 1998; 51: 953-9.

Gloss, David, et al. "Practice guideline update summary: Corticosteroid treatment of Duchenne muscular dystrophy Report of the Guideline Development Subcommittee of the American Academy of Neurology. *Neurology*. 2016; 86: 465-472.

Gill T, Feinstein AR. A critical appraisal of the quality of life measurements. *JAMA*. 1994; 272: 619-25.

Green JM, Murton FE. Diagnosis of Duchenne muscular dystrophy: parents' experiences and satisfaction. *Child Care Health Dev*. 1996; 22: 113–28.

Gómez-Vela M, Sabeh EN. Calidad de vida. Evolución de concepto y su influencia em la investigación y la práctica. Publicacions de INICO, Universidad de Salamanca, 2004.

Griggs RC, Herr BE, Reha A, Elfring G, Atkinson L, Cwik V, McColl E, Tawil R, Pandya S, McDermott MP, Bushby K. Corticosteroids in Duchenne muscular dystrophy: major variations in practice. *Muscle Nerve*. 2013; 48: 27-31.

Guidotti R, & McLean, D. Positive Exposure. *Journal of Law Medicine And Ethics*. 2001; 29: 59-59.

Guillemin F, Bombadier C, Beaton D. Cross-cultural adaptation of health-related quality of life measures: literature review and proposed guidelines. *J Clin Epidemiol*. 1993; 46: 1417-32.

Guyatt G, Feeny D, Patrick D. Measuring health-related quality of life. *Ann Int Med*. 1993; 118: 22-29.

Hendriksen JG, Poysky JT, Schrans DG, Schouten EG, Aldenkamp AP, Vles JS. Psychosocial adjustment in males with Duchenne muscular dystrophy: psychometric properties and clinical utility of a parent-report questionnaire. *J Pediatr Psychol*. 2009; 34: 69-78.

Henegham & Badenoch. Ferramentas para medicina baseada em evidências. *Artmed*; 2007; 120p.

Hwang JW & Koo YJ. Depressive Symptoms and Subjective Quality of Life in Parents of Boys with Duchenne/Becker Muscular Dystrophy. *Journal of the Korean Academy of Child and Adolescent Psychiatry*. 2010; 21: 103-9.

Hu J, Jiang L, Hong S, et al. Reliability and validity of the Chinese version of the pediatric quality of life inventory TM PedsQLTM 3.0 neuromuscular module in children with Duchenne muscular dystrophy. *Health Qual Life Outcomes*. 2013; 15: 11-47.

Hu J, Ye Y, Kong M, Hong S, Cheng L, Wang Q, Qin J, Zou L, Jiang L. Daily prednisone treatment in duchenne muscular dystrophy in southwest China. *Muscle Nerve*. 2015; 52, 1001-1007.

Iannaccone ST, Hynan LS, Morton A, Renee Buchanan, Limbers CA, Varni JW, AmSMART Group. 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. *Neuromuscular Disorders*. 2009; 19: 805-812.

Iascone DM, Henderson CE, Lee JC. Spinal muscular atrophy: from tissue specificity to therapeutic strategies. *F1000Prime Rep*. 2015 Jan 5;7:04.

Leturcq F, Tuffery-Giraud S. Genetics and molecular aspects of dystrophinopathies. *Arch Pediatr*. 2015; 22: 12S3-12S11.

Mahmood & Jiang. Limb-girdle muscular dystrophies: Where next after six decades from the first proposal (Review). *Mol Med Rep*. 2014; 9: 1515-32.

McDougall J, Evans J, Baldwin P. The importance of self-determination to perceived quality of life for youth and young adults with chronic conditions and disabilities. *Remedial and Special Education*. 2010; 31: 252-260.

Melo ELA, Valdés MTM, Pinto JMS. Qualidade de vida em crianças e adolescentes com distrofia muscular de Duchenne. *Pediatrics* (São Paulo) 2005; 27: 28-37.

Mercuri E & Muntoni F. Muscular dystrophies. *Lancet*. 2013; 381: 845-60.

Mercuri E, Bertini E, Iannaccone S. Childhood spinal muscular atrophy: controversies and challenges. *Lancet Neurol*. 2012; 11: 443-52.

Mercuri E, Finkel R, Montes J, Mazzone ES, Sormani MP, Main M, et al. Patterns of disease progression in type 2 and 3 SMA: Implications for clinical trials. *Neuromuscul Disord*. 2016; 26: 126-31.

Minificant S & Dazord A. Evaluation de La qualité de vie de l'enfant. Validation d'un questionnaire, premiers resultants. *Neuropsychiatrie de l'Enfance et de l'Adolescence*. 1997; 45: 106-14.

Moura MCDS, Wutzki HC, Voos MC, Resende MBD, Reed UC, Hasue RH. Is functional dependence of Duchenne muscular dystrophy patients determinant of the quality of life and burden of their caregivers? *Arq Neuropsiquiatr*. 2015; 73: 52-57.

Moxley RT, Pandya S, Ciafaloni E, Fox DJ, Campbell K. Change in natural history of Duchenne muscular dystrophy with long-term corticosteroid treatment: Implications for management. *J. Child Neurol*. 2010, 25, 1116–1129.

Nair SKP, Vasanth A, Gourie-Devi M, et al. Disabilities in children with Duchenne muscular dystrophy: a profile. *J. Rehabil Med*. 2001; 33: 147-9.

Narayanaswami P, Weiss M, Selcen D, David W, Raynor E, Carter G, et al. Evidence-based guideline summary: diagnosis and treatment of limb-girdle and distal dystrophies:

report of the guideline development subcommittee of the American Academy of Neurology and the practice issues review panel of the American Association of Neuromuscular & Electrodiagnostic Medicine. *Neurology*. 2014; 83: 1453-63.

Nereo NE, Fee RJ, Hinton VJ. Parental stress in mothers of boys with Duchenne muscular dystrophy. *J Pediatr Psychol*. 2003; 28: 473–84.

Neugarten BL, Robert JH, Sheldon ST. The measurement of life satisfaction. *Journal of gerontology* (1961).

Nigro V & Savarese M. Genetic basis of limb-girdle muscular dystrophies: the 2014 update. *Acta Myol*. 2014; 33:1-12.

Parrish RK. Visual impairment, visual functioning, and quality of life assessments in patients with glaucoma. *Trans Am Ophthalmol Soc*. 1996; 94: 919-1028.

Pasquali L. *Princípios de elaboração de escalas psicológicas*. In Gorenstein C, Andrade LHSG, Zuardi AW. Escalas de avaliação clínica em psiquiatria e psicofarmacologia. São Paulo: Lemos Editorial; 2000, p. 15-21.

Pedroso B, Pilatti LA, Gutierrez GL, Picinin CT. Cálculo dos escores e estatística descritiva do WHOQOL-bref através do Microsoft Excel. *Revista Brasileira de Qualidade de Vida*. 2010; 2: 31-6.

Pereira GIN, Costa CDS, Geocz L, et al. Tradução e validação para a língua portuguesa (Brasil) de instrumentos específicos para avaliação de qualidade de vida na doença do refluxo gastroesofágico. *Arq Gastroenterol*. 2007; 44: 168-77.

Peters M & Passchier J. Translating instruments for cross-cultural studies in headache research. *Headache*. 2006; 46: 82-91.

Reid DT & Renwick RM. Relating familial stress to the psychosocial adjustment of adolescents with Duchenne muscular dystrophy. *Int J Rehabil Res*. 2001; 24: 83-93.

Renwick RM & Reid DT. Preliminary validation of a new instrument to measure life satisfaction in adolescents with neuromuscular disorders. *Int J Rehabil Res*. 1994; 17: 184-8.

Shrout PE & Fleiss JL. Intraclass Correlations: Uses in Assessing Rater Reliability. *Psychol Bull.* 1979; 86: 420-8.

Simon VA, Resende MBD, Simon MAVP, Zanoteli E, Reed UC. Duchenne muscular dystrophy: quality of life in 95 patients evaluated by the Life Satisfaction Index for Adolescents (LSI-A). *Arq Neuro-Psiquiatr.* 2011; 69: 19-22.

Smith SM, Nichols TE, Vidaurre D, Winkler AM, Behrens TEJ, Glasser MF, Ugurbil K, Barch DM, Van Essen DC, Miller KL. A positive-negative mode of population covariation links brain connectivity, demographics and behavior. *Nature Neuroscienc.* 2015; 18: 1565-1567.

Solans M, Pane S, Estrada MD, et al. Health-Related Quality of Life Measurement in Children and Adolescents: A Systematic Review of Generic and Disease-Specific Instruments. *Value Health.* 2008; 11: 742-64.

Stark AE. Determinants of the incidence of Duchenne muscular dystrophy. *Annals of translational medicine.* 2015; 3: 287

Straub V, Bertoli M. Where do we stand in trial readiness for autosomal recessive limb girdle muscular dystrophies? *Neuromuscular Disord.* 2016; 26: 111-125.

Streiner DL and Norman GR. *Health Measurement Scales: A Practical Guide to their Development and Use.* 1989; (New York Oxford University Press) pp. 79-96.

Strehle EM, Straub V. Recent advances in the management of Duchenne muscular dystrophy. *Arch Dis Child.* 2015; 100: 1173-7.

Summers JA, Marquis J, Mannan H, Turnbull AP, Fleming K, Poston DJ et al. Relationship of perceived adequacy of services, family-professional partnerships, and family quality of life in early childhood service programs. *International Journal of Development, Disability and Education.* 2007; 54: 319-338.

Sumner CJ. Therapeutics development for spinal muscular atrophy. *NeuroRx.* 2006; 3:235-45.

Takaso M, Nakazawa T, Imura T, Okada T, Fukushima K, Ueno M, et al. Surgical management of severe scoliosis with high risk pulmonary dysfunction in Duchenne muscular dystrophy: patient function, quality of life and satisfaction. *Int Orthop.* 2010; 34: 695-702.

Teixeira-Salmela LF, Magalhaes LC, Souza AC, Lima Mde C, Lima RC, Goulart F. Adaptation of the Nottingham Health Profile: a simple measure to assess quality of life. *Cad Saude Publica*. 2004; 20: 905-14.

Uzark K, King E, Cripe L, et al. Health-Related Quality of Life in Children and Adolescents With Duchenne Muscular Dystrophy. *Pediatrics*. 2012; 130: e1559-66.

Vainzof M & Bushby K. Muscular dystrophies presenting with proximal muscle weakness. In: Karpati G, Hilton-Jones D, Bushby K, Griggs RC. (EDS) Disorders of Voluntary Muscle 8th edition. Cambridge: *Cambridge University Press*. 2010: 230-256.

Velarde-Jurado E & Avila-Figueroa C. Evaluación de la calidad de vida. *Salud Publica Mex*. 2002; 44: 349-61.

Wee CD, Kong L, Sumner CJ. The genetics of spinal muscular atrophies. *Curr Opin Neurol*. 2010; 23: 450-8.

Wei Y, Speechley K, Campbell C. Health-Related Quality of Life in Children with Duchenne Muscular Dystrophy: A Review. *Journal of Neuromuscular Diseases*. 2015; 2: 313-324.

Wein N, Alfano L, Flanigan KM. Genetics and emerging treatments for Duchenne and Becker muscular dystrophy. *Pediatr Clin North Am*. 2015; 62: 723-42.

Wicklund MP, Kissel JT. The limb-girdle muscular dystrophy. *Neurol Clin*. 2014; 32: 729-49.

Yamaguchi N, Poudel KC, Poudel-Tandukar K, Shakya D, Ravens-Sieberer U & Jimba M. Reliability and validity of a Nepalese version of the Kiddo-KINDL in adolescents. *Bioscience trends*. 2010; 4: 178-185.

Zachi E, Taub CA, Ventura DF. Perfil comportamental e competência social de crianças e adolescentes com distrofia muscular de Duchenne. Universidade de São Paulo. *Estudos de Psicologia*. 2012; 17: 179-86.

Zatz M, de Paula F, Starling A, Vainzof M. The 10 autosomal recessive limb-girdle muscular dystrophies. *Neuromuscul Disord*. 2003; 13: 532-544.

APROVAÇÃO

A Comissão de Ética para Análise de Projetos de Pesquisa - CAPPesq da Diretoria Clínica do Hospital das Clínicas e da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo, em sessão de 13/10/2010, **APROVOU** o Protocolo de Pesquisa nº **0505/10**, intitulado: **"ADAPTAÇÃO E VALIDAÇÃO DO LIFE SATISFACTION INDEX FOR ADOLESCENTS (LSI-A) PARA O PORTUGUÊS DO BRASIL"** apresentado pelo Departamento de **NEUROLOGIA**.

Cabe ao pesquisador elaborar e apresentar à CAPPesq, os relatórios parciais e final sobre a pesquisa (Resolução do Conselho Nacional de Saúde nº 196, de 10/10/1996, inciso IX.2, letra "c").

Pesquisador (a) Responsável: **Profa. Dra. Umbertina Conti Reed**

Pesquisador (a) Executante: **Valdecir Antonio Simon**

CAPPesq, 15 de Outubro de 2010

Prof. Dr. Eduardo Massad
Presidente da Comissão de
Ética para Análise de Projetos
de Pesquisa

Comissão de Ética para Análise de Projetos de Pesquisa do HCFMUSP e da FMUSP Diretoria Clínica do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo Rua Ovídio Pires de Campos, 225, 5º andar - CEP 05403 010 - São Paulo - SP Fone: 011 3069 6442 Fax: 011 3069 6492 e-mail: cappesq@hcnet.usp.br / secretariacappesq2@hcnet.usp.br

Anexo II

HOSPITAL DAS CLÍNICAS
DA
FACULDADE DE MEDICINA DA UNIVERSIDADE DE SÃO PAULO (HCFMUSP)

TERMO DE CONSENTIMENTO LIVRE E ESCLARECIDO

PESQUISADORES: **Dra. Umbertina Conti Reed**, médica CRM Nº 17145 **Dr. Valdecir Simon**, fisioterapeuta Crefito 3 9811. **Margarete Andreozzi Simon**, pesquisadora. UNIDADE DO HC-FMUSP: Neurologia. Contato: e-mail: umbertina.reed@hc.fm.usp.br; valdecirsimon@usp.br; margarete.simon@usp.com.br Telefone: (11) 30620063 Fax: (11) 30620063

Essa pesquisa é importante para meninos com distrofia muscular de Duchenne (DMD), pacientes com Atrofia Espinhal Progressiva (AEP) e Distrofia Muscular de Cinturas (DMC). Os questionários 1. *Life Satisfaction Index for Adolescents* (LSI-A), 2 e 3. PedsQL Duchenne e Neuromuscular versão pais e pacientes, 4. FQoL – Qualidade de Vida Familiar, e 5. WHOQOL-Bref – Qualidade de Vida da Mãe, mostrarão como se encontra a qualidade de vida das crianças/adolescentes e os pais, nos dando parâmetro para melhor atendimento multiprofissional.

Declaro que, após ter sido convenientemente esclarecido pelo pesquisador e ter entendido o que me foi explicado a respeito do objetivo da entrevista, consinto a meu filho / minha filha e eu participar do presente Protocolo de Pesquisa nº 0505/10, intitulado: Qualidade de Vida de crianças com Distrofia Muscular de Duchenne, Atrofia Espinhal Progressiva e Distrofia Muscular de Cinturas e Validação para o português dos questionários Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A e PedsQL Duchenne. Estou ciente de que os dados ficarão sob sigilo da equipe médica, sem ônus no presente projeto.

São Paulo, ____ de _____ de 2014.

assinatura do responsável legal

DADOS DE IDENTIFICAÇÃO DO SUJEITO DA PESQUISA OU RESPONSÁVEL LEGAL

1. NOME DO ALUNO:

DOCUMENTO DE IDENTIDADE Nº : DATA NASCIMENTO:/...../.....

2. RESPONSÁVEL LEGAL

NATUREZA (grau de parentesco, tutor, curador etc.)

DOCUMENTO DE IDENTIDADE : SEXO: M F ̂ DATA NASCIMENTO:/...../.....

ENDEREÇO: Nº APTO:

BAIRRO: CIDADE:

CEP: TELEFONE:DDD (.....).....

Agradecemos pela sua colaboração

HOSPITAL DAS CLÍNICAS DA
FACULDADE DE MEDICINA DA UNIVERSIDADE DE SÃO PAULO (HCFMUSP)

AUTORIZAÇÃO ESCOLAR

Pesquisadores: Profa. Dra. Umbertina Conti Reed, médica CRM Nº 17145 Dr. Valdecir Simon, fisioterapeuta Crefito-3: 178563-F. UNIDADE DO HC-FMUSP: Neurologia. Contato: e-mail: umbertina.reed@hc.fm.usp.br; valdecirsimon@usp.br; Telefone: (11) 30620063 Fax: (11) 30620063

Essa pesquisa, *Qualidade de Vida de crianças com Distrofia Muscular de Duchenne, Atrofia Espinhal Progressiva e Distrofia Muscular de Cinturas e Validação para o português dos questionários Life Satisfaction Index for Adolescents – LSI-A e PedsQL Duchenne*, é importante a meninos e meninas com Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), pacientes com Atrofia Espinhal Progressiva (AEP) e Distrofia Muscular de Cinturas (DMC). Os questionários *Life Satisfaction Index for Adolescents* (LSI-A), *PedsQL Duchenne* e *Neuromuscular* versão pais e pacientes. Esses instrumentos mostrarão como se encontra a qualidade de vida das crianças/adolescentes e dos pais, nos dando parâmetro para melhor atendimento multiprofissional.

Nesse estudo será avaliado a qualidade de vida de crianças sem o referido quadro, para análise comparativa. A direção da Escola Municipal de Ensino Fundamental Presidente João Pinheiro (Rua Dr. Edgar Garcia Vieira, 140 - Vila Matilde, São Paulo, 03510-040, Tel.11 2653 8062) autoriza, através deste termo, a aplicação dos questionários aos pais/cuidadores dos alunos:

São Paulo, 03 de junho de 2014.

Cátia Morales
RG 16.641.844-4 RF 625.413-6
Diretor de Escola

Diretora Profa. Marleide Fátima R. F. Guedes *em substituição*

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG 6.999.708-SSP C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 381 Data: 06/01/10

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

Índice de Satisfação de Vida						
	Discordo Fortemente	Discordo	Nem concordo nem discordo	Concordo	Concordo Fortemente	N/A
Adolescentes						
1. Tenho tempo suficiente para completar a maioria das coisas que começo.	-	-	-	-	-	-
2. Geralmente não me sinto bem.	-	-	-	-	-	-
3. A maior parte do tempo estou satisfeito com minha aparência.	-	-	-	-	-	-
4. Quando tenho um problema, tenho amigos para conversar.	-	-	-	-	-	-
5. Estou satisfeito em como me dou com meus irmãos/irmãs.	-	-	-	-	-	-
6. Não gosto de pedir para as pessoas me ajudarem.	-	-	-	-	-	-
7. Há coisas que estou fazendo na escola que eu gosto.	-	-	-	-	-	-
8. Estou satisfeito com hobbies e interesses fora da escola.	-	-	-	-	-	-
9. Acredito que posso fazer do mundo um lugar melhor.	-	-	-	-	-	-

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL
MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG 6.999.708-SSP C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 382 Data: 06/01/10

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

Índice de Satisfação de Vida						
	Discordo Fortemente	Discordo	Nem concordo nem discordo	Concordo	Concordo Fortemente	N/A
Adolescentes						
10. Estou satisfeito com a maneira que minha vida está.	-	-	-	-	-	-
11. Sou orgulhoso de quem sou.	-	-	-	-	-	-
12. Mesmo quando as coisas vão mal, ainda tenho esperança.	-	-	-	-	-	-
13. Estou satisfeito com o que fiz de minha vida até agora.	-	-	-	-	-	-
14. Espero ansiosamente por meu tempo livre.	-	-	-	-	-	-
15. Sei o que fazer quando estou entediado.	-	-	-	-	-	-
16. Tenho tempo para eu fazer o que eu quiser.	-	-	-	-	-	-
17. Estou satisfeito com meu nível de participação em esportes ou hobbies.	-	-	-	-	-	-
18. Visitas ao hospital, ao médico ou clínica atrapalham o que eu quero fazer.	-	-	-	-	-	-
19. Usar uma cadeira de rodas (ou um andador ou muletas) não me impede de fazer o que eu quiser fazer.	-	-	-	-	-	-

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 383 Data: 06/01/10

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

Índice de Satisfação de Vida

Adolescentes

	Discordo Fortemente	Discordo	Nem concordo nem discordo	Concordo	Concordo Fortemente	N/A
20. Estou satisfeito com meu grupo de amigos.	-	-	-	-	-	-
21. Quando eu tomo decisões para mim, meus pais me incentivam.	-	-	-	-	-	-
22. Estou satisfeito com as oportunidades que tenho para tentar novas coisas.	-	-	-	-	-	-
23. Consigo me acalmar quando fico assustado.	-	-	-	-	-	-
24. Posso aguardar o dia de amanhã.	-	-	-	-	-	-
25. Sou muito ocupado para fazer coisas que são divertidas.	-	-	-	-	-	-
26. Fico frustrado devido ao que quero fazer mas não posso fazer em meu tempo livre.	-	-	-	-	-	-
27. Fico chateado facilmente.	-	-	-	-	-	-
28. Minha incapacidade física interfere no que quero fazer.	-	-	-	-	-	-
29. Minha professora me dá oportunidades para fazer escolhas.	-	-	-	-	-	-

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 384 Data: 06/01/10
Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

Índice de Satisfação de Vida						
	Discordo Fortemente	Discordo	Nem concordo nem discordo	Concordo	Concordo Fortemente	N/A
Adolescentes						
30. Profissionais de cuidado da saúde (i.e. médicos, enfermeiras, fisioterapeutas, etc.) ouvem minhas preocupações.	-	-	-	-	-	-
31. Tenho oportunidades de ajudar os outros com coisas que estão fazendo.	-	-	-	-	-	-
32. Sou capaz de obter informações sobre carreiras que me interessam.	-	-	-	-	-	-
33. Nunca serei a pessoa que gostaria de ser.	-	-	-	-	-	-
34. Tenho objetivos que espeto alcançar no futuro.	-	-	-	-	-	-
35. Ir à escola me ajudará a alcançar meus objetivos de carreira.	-	-	-	-	-	-
36. Estou satisfeito com minha saúde atual.	-	-	-	-	-	-
37. Tenho problema em alcançar os objetivos que estabeleci para mim.	-	-	-	-	-	-
38. Meus irmãos/irmãs e eu fazemos coisas que são divertidas.	-	-	-	-	-	-

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 385 Data: 06/01/10
Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

Índice de Satisfação de Vida

Adolescentes

	Discordo Fortemente	Discordo	Nem concordo nem discordo	Concordo	Concordo Fortemente	N/A
39. Estou satisfeito com as oportunidades que tenho de sair.	-	-	-	-	-	-
40. Acho difícil relaxar.	-	-	-	-	-	-
41. Sinto-me confortável indo a lugares públicos (i.e. restaurantes, cinemas, shopping centers, etc.).	-	-	-	-	-	-
42. Estou satisfeito em como me dou com as meninas (se você for homem) – ou como me dou com os meninos (se você for mulher).	-	-	-	-	-	-
43. Meus pais tentam compreender meus sentimentos.	-	-	-	-	-	-
44. Faço coisas de que tenho orgulho.	-	-	-	-	-	-
45. Sei de que gostaria em um emprego.	-	-	-	-	-	-

Nota aos Administradores do Projeto

Para fins de reporte, respostas às perguntas devem ser agrupadas nas seguintes categorias. Essas páginas não devem ser distribuídas aos participantes.

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL
MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 386 Data: 06/01/10

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

Bem-estar Geral

1. Tenho energia suficiente para completar a maioria das coisas que começo.
2. Geralmente não me sinto bem.
3. A maior parte do tempo estou satisfeito com minha aparência.
18. Visitar ao médico, hospital ou clínica atrapalham o que eu quero fazer.
19. Usar uma cadeira de rodas (ou um andador ou muletas) não atrapalham o que eu quero fazer.
27. Fico chateado facilmente.
28. Minha incapacidade física interfere no que eu quero fazer.
36. Estou satisfeito com minha saúde atual.
41. Sinto-me confortável indo a lugares públicos (i.e. restaurantes, cinemas, shopping centers).

Relacionamentos Interpessoais

4. Quando tenho um problema, tenho amigos para conversar.
5. Estou satisfeito com como eu me dou com meus irmãos/irmãs.
6. Não gosto de pedir que as pessoas me ajudem.
20. Estou satisfeito com meu grupo de amigos.
21. Quando tomo decisões para mim, meus pais me incentivam.
29. Minha professora me dá oportunidades para fazer escolhas.
30. Profissionais de cuidado da saúde (i.e. médicos, enfermeiras, fisioterapeutas, etc.) ouvem minhas preocupações.
42. Estou satisfeito com como me dou com as meninas.
43. Meus pais tentam entender meus sentimentos.

Desenvolvimento Pessoal

7. Há coisas que estou fazendo na escola que eu gosto.
8. Estou satisfeito com hobbies e interesses fora da escola.
9. Acredito que posso fazer do mundo um lugar melhor.
22. Estou satisfeito com as oportunidades que tenho de tentar coisas novas.
31. Tenho oportunidades de ajudar os outros nas coisas que estão fazendo.
32. Sou capaz de obter informações sobre carreiras que me interessam.
35. Ir à escola me ajuda a alcançar meus objetivos de carreira.

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

IAPAS Nº 12068127468 CCM Nº 3323204-0 RG 6.999.708-SSP CPF Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: sergio.traducoes@terra.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 8795 L. 77 Fl. 387 Data: 06/01/10

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

44. Faço coisas de que me orgulho.
45. Sei de que gostaria em um emprego.

Realização Pessoal

10. Estou satisfeito com a maneira que minha vida está.
11. Tenho orgulho de quem sou.
12. Mesmo quando as coisas vão mal, ainda tenho esperança.
13. Estou satisfeito com o que fiz de minha vida até hoje.
23. Posso me acalmar quando fico assustado.
24. Posso aguardar o amanhã.
33. Nunca serei a pessoa que gostaria de ser.
34. Tenho objetivos que espero alcançar no futuro.
37. Tenho problema em alcançar os objetivos que estabeleci para mim.

Lazer e Recreação

14. Aguardo ansiosamente por meu tempo livre.
15. Sei o que fazer quando estou entediado.
16. Tenho tempo para eu fazer o que eu quiser.
17. Estou satisfeito com meu nível de participação em esportes e hobbies.
25. Estou muito ocupado para fazer coisas que são divertidas.
26. Fico frustrado devido ao que eu quero fazer mas não posso em meu tempo livre.
38. Meus irmãos/irmãs e eu fazemos coisas que são divertidas.
39. Estou satisfeito com as oportunidades que tenho para sair.
40. Acho difícil relaxar.

Nada mais. Data ut supra.
Dou fé. 25.- T/B

SERGIO MOREIRA DA SILVA
TRADUTOR PÚBLICO JURAMENTADO
SWORN TRANSLATOR

Anexo V

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: ala@alatraducoes.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 17.992.682 L. 148 Fl. 379 Data: 05/05/2014

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

ID# *(em branco)*

Date: *(em branco)*

PedsQL™

Módulo Distrofia Muscular de Duchenne

Versão 3.0

RELATÓRIO DOS PAIS para FILHOS JOVENS (idades de 5-18)

ORIENTAÇÕES

Crianças com Distrofia Muscular de Duchenne às vezes têm problemas especiais. Favor nos dizer **o quanto de um problema** cada um tem sido para seu filho durante o **MÊS passado**, fazendo um círculo:

- 0 se isso **nunca** foi um problema
- 1 se isso **quase nunca** foi um problema
- 2 se isso **às vezes** é um problema
- 3 se isso **frequentemente** é um problema
- 4 se isso **quase sempre** é um problema

Não há respostas certas ou erradas.

Se você não entender uma pergunta, favor pedir ajuda.

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL
Sergio Moreira da Silva
TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL
MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: ala@alatraducoes.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 17.992.682 L. 148 Fl. 380 Data: 05/05/2014

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

No **MÊS** passado, quanto de um **problema** seu filho teve com...

ATIVIDADES (problemas com...)	DIÁRIAS	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. Problema em comer com garfo e faca		0	1	2	3	4
2. Dificuldade em escrever ou desenhar com uma caneta ou lápis		0	1	2	3	4
3. Dificuldade em se vestir		0	1	2	3	4
4. Utilizar o banheiro sem		0	1	2	3	4
5. Necessitar de mais tempo		0	1	2	3	4

TRATAMENTO (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. Tomar remédios	0	1	2	3	4
2. Terapia física ou exercício diário que causa dor	0	1	2	3	4
3. Dificuldade em ser responsável por remédios ou terapia física	0	1	2	3	4
4. Dificuldade em lidar com seu problema muscular	0	1	2	3	4

PREOCUPAÇÃO (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. Preocupação com seu problema muscular	0	1	2	3	4
2. Preocupação se os remédios estão funcionando ou não	0	1	2	3	4
3. Preocupação com sua família	0	1	2	3	4
4. Preocupação por necessitar de ajuda de outros	0	1	2	3	4
5. Preocupação em não ser aceito por outros	0	1	2	3	4

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: ala@alatraducoes.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 17.992.682 L. 148 Fl. 381 Data: 05/05/2014

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

PREOCUPAÇÃO (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
6. Preocupação em ser tratado diferentemente dos outros de sua idade	0	1	2	3	4

COMUNICAÇÃO (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. Dificuldade em dizer a médicos e enfermeiras como ele/ela se sente	0	1	2	3	4
2. Dificuldade em fazer perguntas a médicos e enfermeiras	0	1	2	3	4
3. Dificuldade em explicar seu problema muscular a outras pessoas	0	1	2	3	4

Muito obrigado por participar !

PedsQL 3.0 (5-7)
17/04/2012

Não deve ser reproduzido sem autorização

Copyright © 1998 JW Varni, Ph.D. Todos os direitos

Nada mais. Data ut supra.
Dou fé.

Sergio Moreira da Silva
SERGIO MOREIRA DA SILVA
TRADUTOR PÚBLICO JURAMENTADO
PUBLIC TRANSLATOR

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: ala@alatraducoes.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 17.991.681 L. 148 Fl. 376 Data: 05/05/2014

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

ID# (em branco)

Data: (em branco)

PedsQL™

Módulo Distrofia Muscular de Duchenne

Versão 3.0

RELATÓRIO DO FILHO (idades de 8-18)

ORIENTAÇÕES

Crianças com Distrofia Muscular de Duchenne às vezes têm problemas especiais.
Favor nos dizer o **quanto de um problema** cada um tem sido para se você durante o **MÊS** passado, fazendo um círculo:

- 0 se isso **nunca** foi um problema
- 1 se isso **quase nunca** foi um problema
- 2 se isso **às vezes** é um problema
- 3 se isso **frequentemente** é um problema
- 4 se isso **quase sempre** é um problema

Não há respostas certas ou erradas.

Se você não entender uma pergunta, favor pedir ajuda.

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: ala@alatraducoes.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 17.991.681 L. 148 Fl. 377 Data: 05/05/2014

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

No **MÊS** passado, quanto de um **problema** isso foi para você...

ATIVIDADES DIÁRIAS (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. Tenho problema para comer com garfo e faca	0	1	2	3	4
2. É difícil escrever ou desenhar com uma caneta ou lápis	0	1	2	3	4
3. É difícil me vestir	0	1	2	3	4
4. É difícil usar o banheiro sem ajuda	0	1	2	3	4
5. Preciso de mais tempo do que os outros para completar tarefas	0	1	2	3	4

TRATAMENTO (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. É difícil tomar remédios	0	1	2	3	4
2. Minha terapia física ou alongamento diário dói	0	1	2	3	4
3. É difícil ser responsável por meus remédios ou terapia física	0	1	2	3	4
4. É difícil lidar com meu problema muscular	0	1	2	3	4

PREOCUPAÇÃO (problemas com...)	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. Eu me preocupo com meu problema muscular	0	1	2	3	4
2. Eu me preocupo se meus remédios estão funcionando ou não	0	1	2	3	4
3. Eu me preocupo com minha família	0	1	2	3	4
4. Eu me preocupo por precisar de ajuda de outros	0	1	2	3	4
5. Eu me preocupo em não ser aceito por outros	0	1	2	3	4
6. Eu me preocupo por ser tratado diferentemente dos outros de minha idade	0	1	2	3	4

REPÚBLICA FEDERATIVA DO BRASIL

Sergio Moreira da Silva

TRADUTOR PÚBLICO E INTÉRPRETE COMERCIAL

MATRICULADO NA JUNTA COMERCIAL DO ESTADO DE SÃO PAULO SOB Nº 1705

I.A.P.A.S. Nº 12068127468 C.C.M. Nº 3.323.204-0 RG. 6.999.708-SSP. C.P.F. Nº 010.171.568-40

Idioma: Inglês

E-mail: ala@alatraducoes.com.br

AV. PAULISTA, 2073 - 18º ANDAR - CONJ. 1818 - SÃO PAULO - BRASIL - CEP: 01311-300 - TEL.: 3289-3266 - FAX: 3284-2075

Tradução Nº 17.991.681 L. 148 Fl. 378 Data: 05/05/2014

Eu, abaixo assinado, Sergio Moreira da Silva, Tradutor Público Juramentado e Intérprete Comercial, certifico que a tradução fiel de um documento em idioma inglês para o vernáculo, que me foi apresentado, é do seguinte teor:

COMUNICAÇÃO com...)	(problemas	Nunca	Quase Nunca	Às Vezes	Frequente	Quase Sempre
1. É difícil para eu dizer aos médicos e enfermeiras como me sinto		0	1	2	3	4
2. É difícil para eu fazer perguntas aos médicos e enfermeiras		0	1	2	3	4
3. É difícil para eu explicar meu problema muscular a outras pessoas		0	1	2	3	4

Muito obrigado por participar!

PedsQL 3.0 (8-12)
17/04/2012

Não deve ser reproduzido sem autorização

Copyright © 1998 JW Varni, Ph.D. Todos os direitos

Nada mais. Data ut supra.

Dou fé.

Sergio Moreira da Silva
SERGIO MOREIRA DA SILVA
TRADUTOR PÚBLICO JURAMENTADO
SOL. EN. TRANSLATOR

Anexo VI

Adaptação cultural de LSI-A Versão Paciente de 8 a 18 anos

Versão Juramentada	Adaptação	Final
1 Tenho energia suficiente para terminar o que começa	Tenho bastante energia para terminar o que começa	Tenho bastante energia
2 Geralmente não me sinto bem	Não me sinto bem	Muitas vezes eu me sinto mal
3 A maior parte do tempo estou satisfeito com minha aparência	Estou satisfeito com minha aparência na maior parte do tempo	Estou feliz com minha aparência
4 Quando tenho um problema, tenho amigos para conversar	Tenho amigos para conversar	Tenho amigos para conversar
5 Estou satisfeito em como me dou com meus irmãos (ãs)	Estou satisfeito com meus irmãos/irmãs	Estou feliz com minha família
6 Não gosto de pedir para as pessoas me ajudarem	Não gosto de pedir ajuda às pessoas	Não gosto de pedir ajuda às pessoas
7 Há coisas que estou fazendo na escola que eu gosto	Aproveito as coisas que faço na escola	Gosto da escola
8 Estou satisfeito com hobbies e interesses fora da escola	Me satisfaço com os passatempos e interesses fora da escola	Gosto do que faço quando não estou na escola
9 Acredito que posso fazer do mundo um lugar melhor	Posso melhorar o mundo	Acredito que posso melhorar o mundo
10 Estou satisfeito com a maneira que minha vida está	Estou satisfeito com minha vida	Estou feliz com minha vida
11 Sou orgulhoso de quem sou	Tenho orgulho de mim mesmo	Gosto de mim mesmo
12 Mesmo quando as coisas vão mal, ainda tenho esperança	Tenho esperança	Quando as coisas vão mal, acho que podem melhorar
13 Estou satisfeito com o que fiz de minha vida até agora	Estou satisfeito com o que fiz na minha vida até agora	Estou feliz com tudo o que fiz na minha vida até agora
14 Espero ansiosamente por meu tempo livre	Quero um tempo livre	Gostaria de mais tempo livre
15 Sei o que fazer quando estou entediado	Quando estou entediado, sei arrumar o que fazer	Quando estou entediado, sei arrumar o que fazer
16 Tenho tempo para eu fazer o que eu quiser	Tenho tempo para fazer o que quero	Tenho tempo livre para fazer o que quero
17 Estou satisfeito com meu nível de participação em esportes ou hobbies	Participo de jogos esportivos ou passatempos	Estou feliz com os momentos de lazer que tenho

18 Visitas ao hospital, ao médico ou clínica atrapalham o que eu quero fazer	Ir ao médico me atrapalha para fazer o que quero	Ir ao médico me atrapalha para fazer o que quero
19 Usar cadeira de rodas (ou um andador ou muletas) não me impede de fazer que eu quiser fazer	Usar cadeira de rodas (ou um passeador ou muletas) não me impede de fazer o que quero	Usar cadeira de rodas não me atrapalha para eu fazer o que quero
20 Estou satisfeito com meu grupo de amigos	Estou satisfeito com meus amigos	Estou feliz com meus amigos
21 Quando eu tomo decisões para mim, meus pais me incentivam	Quando tomo decisões acho que meus pais me incentivam	Acho que meus pais me apoiam em minhas decisões
22 Estou satisfeito com as oportunidades que tenho para tentar novas coisas	Estou feliz com o quanto realizo atividades diferenciadas	Estou feliz com as chances que tenho para tentar fazer coisas novas
23 Consigo me acalmar quando fico assustado	Mantenho a calma quando me assusto	Consigo me acalmar após ter me assustado
24 Posso aguardar o dia de amanhã	Espero pelo dia seguinte	Consigo esperar pelo dia de amanhã
25 Sou muito ocupado para fazer coisas que são divertidas	Não tenho tempo para me divertir	Não tenho tempo para me divertir
26 Fico frustrado devido ao que quero fazer mas não posso fazer em meu tempo livre	Fico triste por não poder fazer o que quero em meu tempo livre	Fico triste por não poder fazer o que quero em meu tempo livre
27 Fico chateado facilmente	Fico chateado facilmente	Fico chateado facilmente
28 Minha incapacidade física interfere no que quero fazer	Sinto que minha situação física interfere naquilo que faço	Sinto que minha situação física me atrapalha naquilo que faço
29 Minha professora me dá oportunidades para fazer escolhas	Participo nas aulas, pois o professor deixa	Durante as aulas, tenho professores que me deixam falar o acho
30 Profissionais de cuidado da saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) ouvem minhas preocupações	Penso que as pessoas que cuidam de minha saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) entendem minhas preocupações	Penso que as pessoas que cuidam de minha saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) me entendem
31 Tenho oportunidades de ajudar os outros com coisas que estão fazendo	Tenho chance de ajudar os outros	Tenho chance de ajudar os outros
32 Sou capaz de obter informações sobre carreiras que me interessam	Consigo informações sobre carreiras/profissões que me interessam	Procuo informações sobre o que cada profissão faz
33 Nunca serei a pessoa que gostaria de ser	Penso que não serei quem eu gostaria de ser	Penso que eu nunca serei quem eu gostaria de ser

34 Tenho objetivos que espero alcançar no futuro	Tenho planos para o futuro	Tenho planos para o futuro
35 Ir à escola me ajudará a alcançar meus objetivos de carreira	Penso que ir à escola o ajudará a alcançar minhas metas de carreira/profissão	Penso que a escola é importante para eu ter uma profissão
36 Estou satisfeito com minha saúde atual	Estou satisfeito com minha saúde	Estou feliz com minha saúde
37 Tenho problema em alcançar os objetivos que estabeleci para mim	Tenho dificuldades para alcançar meus planos/objetivos	Tenho dificuldade para fazer o que quero fazer
38 Meus irmãos (ãs) e eu fazemos coisas que são divertidas	Meus irmãos ou/e irmãs e eu fazemos coisas que são divertidas	Me divirto com minha família
39 Estou satisfeito com as oportunidades que tenho de sair	Estou satisfeito com o quanto saio	Estou feliz com as chances que tenho para passear
40 Acho difícil relaxar	Acho difícil relaxar	Acho difícil relaxar
41 Sinto-me confortável indo a lugares públicos (restaurantes, cinemas, shopping centers etc)	Fico bem em lugares públicos (restaurantes, teatros, cinemas, lojas etc)	Me sinto bem entre as pessoas
42 Estou satisfeito em como me dou com as meninas (se for homem) – ou como me dou com os meninos (se você for mulher)	Estou satisfeito com a amizade que tenho com os meninos (as)	Estou feliz com a amizade que tenho com as meninas ou com os meninos
43 Meus pais tentam compreender meus sentimentos	Acho que meus pais tentam entender meus sentimentos	Acho que meus pais tentam entender meus sentimentos
44 Faço coisas de que tenho orgulho de mim	Orgulho-me do que faço	Faço coisas que deixam eu me sentir orgulhoso de fazê-las
45 Sei de que gostaria em um emprego	Sei o que gostaria de fazer numa emprego	Sei o que quero ser quando crescer

Anexo VII

Adaptação cultural LSI-A Versão Pais à paciente de 5 a 18 anos

Juramentada convertida	Adaptação	Final
Da versão paciente para pais	Meu /minha filho (a)	Meu/ minha filho (a)
1 Tem energia suficiente para terminar o que começa	Tem bastante energia para terminar o que começa	Tem bastante energia
2 Geralmente não se sente bem	Não se sente bem	Muitas vezes se sente mal
3 A maior parte do tempo está satisfeito com sua aparência	Está satisfeito com sua aparência na maior parte do tempo	Está feliz com sua aparência
4 Quando tem um problema, tem amigos para conversar	Tem amigos para conversar	Tem amigos para conversar
5 Está satisfeito em como se dá com seus irmãos (ãs)	Está satisfeito com seus irmãos/irmãs	Está feliz com sua família
6 Não gosta de pedir para as pessoas lhe ajudarem	Não gosta de pedir ajuda às pessoas	Não gosta de pedir ajuda às pessoas
7 Há coisas que está fazendo na escola que gosta	Aproveita coisas que ele faz na escola	Gosta da escola
8 Está satisfeito com hobbies e interesses fora da escola	Se satisfaz com passatempos e interesses fora da escola	Gosta do que faz quando não está na escola
9 Acredita que pode fazer do mundo um lugar melhor	Pode melhorar o mundo	Acredita que pode melhorar o mundo
10 Está satisfeito com a maneira que sua vida está	Está satisfeito com sua vida	Está feliz com sua vida
11 Está orgulhoso de quem é	Tem orgulho de si	Gosta de si mesmo
12 Mesmo quando as coisas vão mal, ainda tem esperança	Tem esperança	Quando as coisas vão mal, acha que podem melhorar
13 Está satisfeito com o que fez de sua vida até agora	Está satisfeito com o que fez na sua vida até agora	Está feliz com tudo o que fez na sua vida até agora
14 Espera ansiosamente por seu tempo livre	Quer um tempo livre	Gostaria de mais tempo livre
15 Sabe o que fazer quando está entediado	Quando está entediado, sabe arrumar o que fazer	Quando está entediado, sabe arrumar o que fazer
16 Tem tempo para fazer o que quer	Tem tempo para fazer o que quer	Tem tempo livre para ele fazer o que quer

17 Está satisfeito com seu nível de participação em esportes ou hobbies	Participa de jogos esportivos ou passatempos	Está feliz com os momentos de lazer que ele tem
18 Visitas ao hospital, ao médico ou clínica atrapalham o que quer fazer	Ir ao médico o atrapalha para fazer o que quer	Ir ao médico o atrapalha para fazer o que quer
19 Usar cadeira de rodas (ou um andador ou muletas) não lhe impede de fazer que quer fazer	Usar cadeira de rodas (ou um passeador ou muletas) não lhe impede de fazer o que quer	Fala que cadeira de rodas não o atrapalha para fazer o que quer
20 Está satisfeito com seu grupo de amigos	Está satisfeito com seus amigos	Está feliz com seus amigos
21 Quando ele toma decisões acha que nós o incentivamos	Quando ele toma decisões acha que nós o incentivamos	Acha que nós o apoiamos em suas decisões
22 Está satisfeito com as oportunidades que tem para tentar novas coisas	Esta feliz com o quanto realiza atividades diferenciadas	Está feliz com as chances que tem para tentar fazer coisas novas
23 Consegue se acalmar quando fica assustada	Mantem a calma quando se assusta	Se acalma quando se assusta
24 Pode aguardar o dia de amanhã	Espera pelo dia seguinte	Consegue esperar pelo dia de amanhã
25 Está muito ocupado para fazer coisas que são divertidas	Não tem tempo para se divertir	Não tem tempo para se divertir
26 Fica frustrado devido ao que quer fazer mas não pode fazer em seu tempo livre	Fica triste por não poder fazer o que quer em seu tempo livre	Fica triste por não poder fazer o que quer em seu tempo livre
27 Fica chateado facilmente	Fica chateado facilmente	Fica chateado facilmente
28 Sua incapacidade física interfere no que quer fazer	Sente que sua situação física interfere naquilo que faz	Sente que sua situação física o atrapalha naquilo que faz
29 Sua professora dá oportunidades para fazer escolhas	Participa nas aulas, pois o professor deixa	Durante as aulas, têm professores que o deixam falar o que acha
30 Profissionais de cuidado da saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) ouvem suas preocupações	Pensa que as pessoas que cuidam de sua saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) entendem suas preocupações	Pensa que as pessoas que cuidam de sua saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) o entendem
31 Têm oportunidades de ajudar os outros com coisas que estão fazendo	Tem chance de ajudar os outros	Tem chance de ajudar os outros
32 É capaz de obter informações sobre carreiras que lhe interessam	Consegue informações sobre carreiras/profissões que lhe interessam	Procura informações sobre o que cada profissão faz
33 Pensa que nunca será a pessoa que gostaria de ser	Pensa que não será quem gostaria de ser	Pensa que ele nunca será quem ele gostaria de ser

34 Tem objetivos que espera alcançar no futuro	Tem planos para o futuro	Tem planos para o futuro
35 Pensa que ir à escola lhe ajudará a alcançar seus objetivos de carreira	Pensa que ir à escola o ajudará a alcançar suas metas de carreira/profissão	Pensa que a escola é importante para ele ter uma profissão
36 Está satisfeito com sua saúde atual	Está satisfeito com sua saúde	Está feliz com sua saúde
37 Tem problema em alcançar os objetivos que estabeleceu para ele	Tem dificuldades para alcançar seus planos/objetivos	Tem dificuldade para fazer o que quer fazer
38 Irmãos (ãs) dele e ele fazem coisas que são divertidas	Irmãos (ãs) dele e ele fazem coisas que são divertidas	Diverte-se com a nossa família
39 Está satisfeito com as oportunidades que tem de sair	Está satisfeito com o quanto sai	Está feliz com as chances que tem para passear
40 Acha difícil relaxar	Acha difícil relaxar	Acha difícil relaxar
41 Sente-se confortável indo a lugares públicos (restaurantes, cinemas, shopping centers etc)	Fica bem em lugares públicos (restaurantes, teatros, cinemas, lojas etc)	Se sente bem entre as pessoas
42 Está satisfeito em como se dá com as meninas (se for homem) – ou como se dá com os meninos (se for mulher)	Está satisfeito com a amizade que tem com os meninos (as)	Está feliz com a amizade que tem com as meninas ou com os meninos
43 Acha que seus pais tentam compreender seus sentimentos	Acha que nós nos esforçamos para entender seus sentimentos	Acha que nós nos esforçamos para entender seus sentimentos
44 Faz coisas de que tem orgulho de si	Orgulha-se do que faz	Faz coisas que ele se sente orgulhoso de fazer
45 Sabe de que gostaria em um emprego	Sabe o que gostaria de fazer numa atividade	Sabe o que quer ser quando crescer

Anexo VIII

Adaptação cultural do PedsQL DMD 3.0 – Módulo Distrofia Muscular de Duchenne - versão Pais de paciente de 5 a 18 anos

No mês passado, quanto de um problema seu filho teve com...

Juramentada	Adaptação	Final
ATIVIDADES DIÁRIAS (problemas com...)	ATIVIDADES DIÁRIAS	ATIVIDADES DIÁRIAS
	<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...</i>	<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...</i>
1. Problema em comer com garfo e faca	comer com garfo e faca ou colher	comer com garfo e faca ou colher
2. Dificuldade em escrever ou desenhar com uma caneta ou lápis	escrever ou desenhar	escrever ou desenhar
3. Dificuldade em se vestir	se vestir	se vestir
4. Utilizar banheiro sem	usar banheiro	usar banheiro
5. Necessitar de mais tempo	completar tarefas, precisa mais tempo	fazer tarefas, precisa mais tempo
TRATAMENTO (problemas com..)	TRATAMENTO	TRATAMENTO
	<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade ...</i>	<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade ...</i>
6. Tomar remédios	para tomar medicamento	tomar remédio
7. Terapia física ou exercício diário que lhe causa dor	para ir ao médico ou fazer exercícios que lhe causa dor	para ir ao médico ou fazer exercícios
8. Dificuldade em ser responsável por remédios ou terapia física	em se responsabilizar pelo seu tratamento ou terapia física	em ser responsável pelo tratamento ou terapia física
9. Dificuldade em lidar com seu problema muscular	para lidar com seu problema muscular	para lidar com o problema muscular
PREOCUPAÇÃO (problemas com...)	PREOCUPAÇÃO	PREOCUPAÇÃO
	<i>Durante o último mês, meu filho fica preocupado...</i>	<i>Durante o último mês, meu filho fica preocupado...</i>
10. Preocupação com seu problema muscular	com seu problema muscular	com o problema muscular

11. Preocupação se os remédios estão funcionando ou não	se a medicação está ajudando	se a medicação está ajudando
12. Preocupação com sua família	com a família	com a família
13. Preocupação por necessitar de ajuda de outros	com a necessidade de auxílio	com a necessidade de ajuda
14. Preocupação em não ser aceito por outros	com não ser aceito	com não ser aceito por outros
15. Preocupação em ser tratado diferentemente dos outros de sua idade	com ser tratado diferente do que outros de sua idade	com ser tratado diferente do que outros de sua idade
<hr/>		
COMUNICAÇÃO (problemas com...)	COMUNICAÇÃO	COMUNICAÇÃO
	<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...</i>	<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...</i>
16. Dificuldade em dizer a médicos e enfermeiras como ele/ela se sente	dizer como se sente para equipe da saúde	dizer como se sente aos médicos e enfermeiras
17. Dificuldade em fazer perguntas a médicos e enfermeiras	fazer perguntas aos médicos e enfermeiras	fazer perguntas aos médicos e enfermeiras
18. Dificuldade em explicar seu problema muscular a outras pessoas	explicar sua doença a outras pessoas	explicar seu quadro muscular a outras pessoas

Anexo IX

Adaptação cultural do PedsQL DMD 3.0 – Módulo Distrofia Muscular de Duchenne - versão Paciente de 8 a 18 anos

No mês passado, quanto de um
problema isso foi pra você...

Juramentada	Adaptação	Final
ATIVIDADES DIÁRIAS (problemas com...)	ATIVIDADES DIÁRIAS	ATIVIDADES DIÁRIAS
	<i>Durante o último mês, tive dificuldade para ...</i>	<i>Durante o último mês, tive dificuldade para ...</i>
1. Tenho problema para comer com garfo e faca	comer com garfo e faca ou colher	comer com garfo e faca ou colher
2. É difícil escrever ou desenhar com uma caneta ou lápis	escrever ou desenhar	escrever ou desenhar
3. É difícil me vestir	me vestir	me vestir
4. É difícil usar banheiro sem ajuda	usar banheiro	usar banheiro
5. Preciso de mais tempo do que os outros para completar tarefas	completar tarefas, preciso mais tempo	fazer tarefas, preciso de mais tempo
TRATAMENTO (problemas com...)	TRATAMENTO	TRATAMENTO
	<i>Durante o último mês, fiquei preocupado...</i>	<i>Durante o último mês, fiquei preocupado...</i>
6. É difícil tomar remédios	para tomar medicamento	para tomar remédio
7. Minha terapia física ou alongamento dói	ir ao médico ou fazer exercícios que lhe causa dor	para ir ao médico ou fazer exercícios
8. É difícil ser responsável por meus remédios ou terapia física	ser responsável pelo meu tratamento ou terapia física	em me responsabilizar pelo meu tratamento ou terapia física
9. É difícil lidar com problema muscular	lidar com meu problema muscular	para lidar com o problema muscular
PREOCUPAÇÃO (problemas com...)	PREOCUPAÇÃO	PREOCUPAÇÃO
	<i>Durante o último mês, fiquei preocupado...</i>	<i>Durante o último mês, fiquei preocupado...</i>
10. Eu me preocupo com meu problema muscular	com meu problema muscular	com meu problema muscular

11 . Eu me preocupo se meus remédios estão funcionando ou não	se a medicação está ajudando	se a medicação está me ajudando
12 . Eu me preocupo com minha família	com a família	com a família
13.. Eu me preocupo por precisar de ajuda de outros	com a necessidade de auxílio	com a necessidade de ajuda
14. Eu me preocupo em não ser aceito por outros	por não ser aceito	por não ser aceito por outros
15. Eu me preocupo em ser tratado diferentemente dos outros de sua idade	por ser tratado diferente do que outros de minha idade	por ser tratado diferente do que outros de minha idade

COMUNICAÇÃO (problemas com...)	COMUNICAÇÃO	COMUNICAÇÃO
	<i>Durante o último mês, foi difícil para...</i>	<i>Durante o último mês, foi difícil para..</i>
16. É difícil para eu dizer aos médicos e enfermeiras como me sinto	dizer como me senti para equipe da saúde	dizer como me sinto aos médicos e enfermeiras
17. É difícil para eu fazer perguntas a médicos e enfermeiras	fazer perguntas aos médicos e enfermeiras	fazer perguntas aos médicos e enfermeiras
18. É difícil para eu explicar meu problema muscular a outras pessoas	explicar minha doença para outras pessoas	explicar meu problema muscular para outras pessoas

LIFE SATISFATION INDEX FOR ADOLESCENTS – LSI-A

Qualidade de Vida para crianças e adolescentes

Versão Pais

Idade 5 a 18 anos

Instruções

Neste questionário lhe pedem que responda a várias declarações, as quais tratam do grau de satisfação da vida se seu filho/a. Cada declaração é seguida por ícones de avaliação. Leia cada declaração cuidadosamente, então circule o número correspondente ao ícone de avaliação que melhor descreve o quanto você concorda ou discorda com a declaração à respeito de seu filho/a..

Por favor, leia o exemplo abaixo antes de você começar.

Exemplo:

Meu filho/a tem bastante energia.

Discordo	Discordo	Não concordo	Concordo	Não
Plenamente		Nem discordo	Concordo	Plenamente
				Aplicavel

Se você concordar com esta declaração, você marcará um **X** no número 4. Se você discordar plenamente, você assinalará um **X** no número 1, e assim por diante.

LEIA CADA QUESTÃO E MARQUE SOMENTE UMA RESPOSTA PARA CADA ITEM.

As informações que você der ficarão em sigilo.

VERSÃO PAIS

<i>Considerando a última semana, responda</i>	Discordo Plenamente	Discordo	Não concordo nem discordo	Concordo	Concordo Plenamente	Não Aplicável
<i>Meu filho (a) ...</i>						
1. Tem bastante energia	1	2	3	4	5	0
2. Muitas vezes se sente mal	1	2	3	4	5	0
3. Está feliz com sua aparência	1	2	3	4	5	0
4. Tem amigos para conversar	1	2	3	4	5	0
5. Está feliz com seus familiares	1	2	3	4	5	0
6. Não gosta de pedir ajuda às pessoas	1	2	3	4	5	0
7. Gosta da escola	1	2	3	4	5	0
8. Gosta do que faz quando não está na escola	1	2	3	4	5	0
9. Acredita que pode melhorar o mundo	1	2	3	4	5	0
10. Está feliz com sua vida	1	2	3	4	5	0
11. Gosta de si mesmo	1	2	3	4	5	0
12. Quando as coisas vão mal, acha que podem melhorar	1	2	3	4	5	0
13. Está feliz com tudo o que fez na sua vida até agora	1	2	3	4	5	0
14. Gostaria de mais tempo livre	1	2	3	4	5	0
15. Quando está entediado, sabe arrumar o que fazer	1	2	3	4	5	0
16. Tem tempo livre para fazer o que quer	1	2	3	4	5	0
17. Está feliz com os momentos de lazer que ele têm	1	2	3	4	5	0
18. Ir ao médico o atrapalha no que quer fazer	1	2	3	4	5	0
19. Fala que cadeira de rodas não o atrapalha para fazer o que quer	1	2	3	4	5	0
20. Está feliz com seus amigos	1	2	3	4	5	0
21. Acha que nós o apoiamos em suas decisões	1	2	3	4	5	0

22. Está feliz com as chances que tem para tentar fazer coisas novas	1	2	3	4	5	0
23. Se acalma quando se assusta	1	2	3	4	5	0
24. Consegue esperar pelo dia de amanhã	1	2	3	4	5	0
25. Não tem tempo para se divertir	1	2	3	4	5	0
26. Fica triste por não poder fazer o que quer em seu tempo livre	1	2	3	4	5	0
27. Fica chateado facilmente	1	2	3	4	5	0
28. Sente que sua situação física o atrapalha naquilo que faz	1	2	3	4	5	0
29. Durante as aulas, seus professores o deixam falar o que acha	1	2	3	4	5	0
30. Pensa que as pessoas que cuidam de sua saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) o entendem	1	2	3	4	5	0
31. Tem chance de ajudar os outros	1	2	3	4	5	0
32. Procura informações sobre o que cada profissão faz	1	2	3	4	5	0
33. Pensa que ele nunca será quem ele gostaria de ser	1	2	3	4	5	0
34. Têm planos para o futuro	1	2	3	4	5	0
35. Pensa que a escola é importante para ele ter uma profissão	1	2	3	4	5	0
36. Está feliz com sua saúde	1	2	3	4	5	0
37. Tem dificuldade para fazer o que quer	1	2	3	4	5	0
38. Diverte se com a nossa família	1	2	3	4	5	0
39. Está feliz com as chances que tem para passear	1	2	3	4	5	0
40. Acha difícil relaxar	1	2	3	4	5	0
41. Se sente bem entre as pessoas	1	2	3	4	5	0
42. Está feliz com a amizade que tem com as meninas ou com os meninos	1	2	3	4	5	0
43. Acha que nós nos esforçamos para entender seus sentimentos	1	2	3	4	5	0

44. Faz coisas que ele se sente orgulhoso de fazer	1	2	3	4	5	0
45. Sabe o que quer ser quando crescer	1	2	3	4	5	0

Anexo XI

LIFE SATISFATION INDEX FOR ADOLESCENTS – LSI-A

Qualidade de Vida para crianças e adolescentes

Versão Paciente

Idade 8 A 18 anos

Instruções

Neste questionário lhe pedem que responda a várias declarações, as quais tratam do grau de satisfação de vida. Cada declaração é seguida por ícones de avaliação. Leia cada declaração cuidadosamente, então circule o número correspondente ao ícone de avaliação que melhor descreve o quanto você concorda ou discorda com a declaração.

Por favor, leia o exemplo abaixo antes de você começar.

Exemplo:

Tenho bastante energia.

Discordo	Discordo	Não concordo	Concordo	Concordo	Não
Plenamente		Nem discordo		Plenamente	Aplicável

Se você concordar com esta declaração, você marcará um **X** no número 4. Se você discordar plenamente, você assinalará um **X** no número 1, e assim por diante.

LEIA CADA QUESTÃO E MARQUE SOMENTE UMA RESPOSTA PARA CADA ITEM.

As informações que você der ficarão em sigilo.

VERSÃO PACIENTE

<i>Considerando a última semana, responda</i>	Discordo Plenamente	Discordo	Não Concordo nem Discordo	Concordo	Concordo Plenamente	Não Aplicável
<i>Eu...</i>						
1. Tenho bastante energia	1	2	3	4	5	0
2. Muitas vezes eu me sinto mal	1	2	3	4	5	0
3. Estou feliz com minha aparência	1	2	3	4	5	0
4. Tenho amigos para conversar	1	2	3	4	5	0
5. Estou feliz com minha família	1	2	3	4	5	0
6. Não gosto de pedir ajuda às pessoas	1	2	3	4	5	0
7. Gosto da escola	1	2	3	4	5	0
8. Gosto do que faço quando não estou na escola	1	2	3	4	5	0
9. Acredito que posso melhorar o mundo	1	2	3	4	5	0
10. Estou feliz com minha vida	1	2	3	4	5	0
11. Gosto de mim mesmo	1	2	3	4	5	0
12. Quando as coisas vão mal, acho que podem melhorar	1	2	3	4	5	0
13. Estou feliz com tudo o que fiz na minha vida até agora	1	2	3	4	5	0
14. Gostaria de mais tempo livre	1	2	3	4	5	0
15. Quando estou entediado, sei arrumar o que fazer	1	2	3	4	5	0
16. Tenho tempo livre para fazer o que quero	1	2	3	4	5	0
17. Estou feliz com os momentos de lazer que tenho	1	2	3	4	5	0
18. Ir ao médico me atrapalha para fazer o que quero	1	2	3	4	5	0
19. Usar cadeira de rodas não me atrapalha para eu fazer o que quero	1	2	3	4	5	0
20. Estou feliz com meus amigos	1	2	3	4	5	0

21. Acho que meus pais me apoiam em minhas decisões	1	2	3	4	5	0
22. Estou feliz com as chances que tenho para tentar fazer coisas novas	1	2	3	4	5	0
23. Consigo me acalmar após ter me assustado	1	2	3	4	5	0
24. Consigo esperar pelo dia de amanhã	1	2	3	4	5	0
25 Não tenho tempo para me divertir	1	2	3	4	5	0
26. Fico triste por não poder fazer o que quero em meu tempo livre	1	2	3	4	5	0
27. Fico chateado facilmente	1	2	3	4	5	0
28. Sinto que minha situação física me atrapalha naquilo que faço	1	2	3	4	5	0
29. Tenho professores que me deixam falar o acho nas aulas	1	2	3	4	5	0
30. Penso que as pessoas que cuidam de minha saúde (médicos, enfermeiras, fisioterapeutas etc) me entendem	1	2	3	4	5	0
31. Tenho chance de ajudar os outros	1	2	3	4	5	0
32. Procuro informações sobre o que cada profissão faz	1	2	3	4	5	0
33. Penso que eu nunca serei quem eu gostaria de ser	1	2	3	4	5	0
34. Tenho planos para o futuro	1	2	3	4	5	0
35. Penso que a escola é importante para eu ter uma profissão	1	2	3	4	5	0
36. Estou feliz com minha saúde	1	2	3	4	5	0
37. Tenho dificuldade para fazer o que quero fazer	1	2	3	4	5	0
38. Me divirto com minha família	1	2	3	4	5	0
39. Estou feliz com as chances que tenho para passear	1	2	3	4	5	0
40. Acho difícil relaxar	1	2	3	4	5	0
41. Me sinto bem entre as pessoas	1	2	3	4	5	0
42. Estou feliz com a amizade que	1	2	3	4	5	0

tenho com as meninas ou com os
meninos

43. Acho que meus pais tentam entender meus sentimentos	1	2	3	4	5	0
--	---	---	---	---	---	---

44. Faço coisas que me deixam eu me sentir orgulhoso de fazê-las	1	2	3	4	5	0
---	---	---	---	---	---	---

45. Sei o que quero ser quando crescer	1	2	3	4	5	0
---	---	---	---	---	---	---

Nº de identificação:

Data:

PedsQL™

Módulo Duchenne

Versão 3.0

RELATO DOS PAIS sobre a CRIANÇA/ ADOLESCENTE
(de 5 a 18 anos de idade)

INSTRUÇÕES

Crianças e Adolescentes com Distrofia Muscular de Duchenne às vezes têm problemas especiais.

Conte-nos se o seu filho/a **tem tido dificuldade** com cada uma dessas coisas durante o **ÚLTIMO MÊS**, fazendo um “X” no número:

- 0** se ele / ela **nunca** tem dificuldade com isso
- 1** se ele / ela **quase nunca** tem dificuldade com isso
- 2** se ele / ela **algumas vezes** tem dificuldade com isso
- 3** se ele / ela **frequentemente** tem dificuldade com isso
- 4** se ele / ela **quase sempre** tem dificuldade com isso

Não existem respostas certas ou erradas.

Se você não entender a pergunta, não hesite em pedir ajuda.

VERSÃO PAIS

ATIVIDADES DIÁRIAS					
Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequentemente	Quase sempre
1. comer com garfo e faca ou colher	0	1	2	3	4
2. escrever ou desenhar	0	1	2	3	4
3. se vestir	0	1	2	3	4
4. usar banheiro	0	1	2	3	4
5. fazer tarefas, precisa mais tempo	0	1	2	3	4

TRATAMENTO					
Durante o último mês, meu filho teve dificuldade ...	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequentemente	Quase sempre
6. para tomar remédio	0	1	2	3	4
7. para ir ao médico ou fazer exercícios que lhe causam dor	0	1	2	3	4
8. em se responsabilizar pelo seu tratamento ou terapia física	0	1	2	3	4
9. para lidar com seu problema muscular	0	1	2	3	4

PREOCUPAÇÃO					
Durante o último mês, meu filho fica preocupado...	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequentemente	Quase sempre
10. com o problema muscular	0	1	2	3	4
11. se a medicação está ajudando	0	1	2	3	4
12. com a família	0	1	2	3	4
13. com a necessidade de ajuda	0	1	2	3	4
14. com não ser aceito por outros	0	1	2	3	4
15. com ser tratado diferente do que outros de sua idade	0	1	2	3	4

COMUNICAÇÃO					
Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequentemente	Quase sempre
16. dizer como se sente aos médicos e enfermeiras	0	1	2	3	4
17. fazer perguntas aos médicos e enfermeiras	0	1	2	3	4
18. explicar seu quadro muscular a outras pessoas	0	1	2	3	4

PedsQL™

Módulo Duchenne

Versão 3.0

RELATO da própria CRIANÇA/ ADOLESCENTE
(de 8 a 18 anos de idade)

INSTRUÇÕES

Crianças e Adolescentes com Distrofia Muscular de Duchenne às vezes têm problemas especiais.

Conte-nos se o quanto você tem tido **dificuldade** com cada uma dessas coisas durante o **ÚLTIMO MÊS**, fazendo um “X” no número:

- 0** se você **nunca** tem dificuldade com isso
- 1** se você **quase nunca** tem dificuldade com isso
- 2** se você **algumas vezes** tem dificuldade com isso
- 3** se você **frequentemente** tem dificuldade com isso
- 4** se você **quase sempre** tem dificuldade com isso

Não existem respostas certas ou erradas.

Se você não entender a pergunta, não hesite em pedir ajuda.

PedsQL 3.0 DMD – Modulo Distrofia Muscular de Duchenne

VERSÃO PACIENTE

ATIVIDADES DIÁRIAS					
<i>Durante o último mês, tive dificuldade para ...</i>	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequente mente	Quase sempre
1. comer com garfo e faca ou colher	0	1	2	3	4
2. escrever ou desenhar	0	1	2	3	4
3. me vestir	0	1	2	3	4
4. usar banheiro	0	1	2	3	4
5. fazer tarefas, preciso de mais tempo	0	1	2	3	4

TRATAMENTO					
<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade ...</i>	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequente mente	Quase sempre
6. para tomar remédio	0	1	2	3	4
7. para ir ao médico ou fazer exercícios que me causam dor	0	1	2	3	4
8. em me responsabilizar pelo meu tratamento ou terapia física	0	1	2	3	4
9. para lidar com meu problema muscular	0	1	2	3	4

PREOCUPAÇÃO					
<i>Durante o último mês, meu filho fica preocupado...</i>	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequente mente	Quase sempre
10. com meu problema muscular	0	1	2	3	4
11. se a medicação está me ajudando	0	1	2	3	4
12. com a família	0	1	2	3	4
13. com a necessidade de ajuda	0	1	2	3	4
14. com não ser aceito por outros	0	1	2	3	4
15. com ser tratado diferente do que outros de minha idade	0	1	2	3	4

COMUNICAÇÃO					
<i>Durante o último mês, meu filho teve dificuldade para ...</i>	Nunca	Quase nunca	Algumas vezes	Frequente mente	Quase sempre
16. dizer como me sinto aos médicos e enfermeiras	0	1	2	3	4
17. fazer perguntas aos médicos e enfermeiras	0	1	2	3	4
18. explicar meu quadro muscular a outras pessoas	0	1	2	3	4

APÊNDICE I

Tabela descritiva dos pacientes com Duchenne quanto à biópsia, tempo e modalidade de Fisioterapia e Terapia Ocupacional (TO).

Paciente	Idade	Físico	Biópsia	Fisioterapia	motora	respiratória	hidroterapia	TO
com DMD			Idade anos	anos	Sessões semanais	Sessões semanais	Sessões semanais	
RBS	6	Deamb	4.25	1 ano	1			
AL	6	Deamb	5.16	1 ano	1	1		
RT	7	Deamb	3.58	3 anos	2			
GS	7	Deamb	5.08	1 ano	2			
GM	7	Deamb	1.5	11 meses	1	1		1
JSR	7	Deamb	7	1 ano e 1 mês	1			
VSLO	7	Deamb	3.41	1 ano e 5 meses	2	1		
CI	7	Deamb	5.58	2 anos e 1 mês	1	1		
GSQ	8	Deamb	6.16	1 ano e 7 meses	1			
PHS	8	Deamb	5.75	1 ano e 3 meses	1			
VFL	8	Deamb	8.5	7 meses	1	1		
RAL	8	Deamb	6.16	2 anos e 7 meses	3	2		
EM	9	Deamb	8.08	4 anos e 1 mês	1	2		
LB	9	CD	7.41	1 ano e 1 mês	1			
FS	9	Deamb	6.83	3 anos e 10 meses	2			
MTA	10	Deamb	4.5	1 ano e 3 meses	2			
BN	10	Deamb	11.91	1 ano e 1 mês	2		2	
KA	10	Deamb	10	5 anos e 1 mês	2			
GH	10	Deamb	6.41	6 anos	2	1		
LB	10	Deamb	8.5	1 ano e 7 meses				1
MV	11	Deamb	11.25	7 anos e 7 meses	2	1		1

LA	11	Deamb	10.75	8 anos e 3 meses	1	1	1
LDM	11	CD	9.16	1 ano e 1 mês	2		
JVMC	11	Deamb	7.75	4 anos e 3 meses	2		
GSL	12	Deamb	5.33	2 anos e 7 meses			1
LA	12	Deamb	7.16	4 anos e 6 meses	1	1	
GC	12	Deamb	6.41	5 anos e 6 meses	3		
MC	12	Deamb	11.16	1 ano e 1 mês	2		
RB	12	CD	6.58	5 anos e 1 mês	2		
JV	12	Deamb	8.25	6 anos e 1 mês	3		
WSC	13	CD	6.58	5 anos e 4 meses	1	1	1
LA	14	Deamb	7.16	6 anos e 3 mês	2	1	
GBD	14	CD	3.75	10 anos e 1 mês	2		
LSR	14	CD	6.58	2 anos e 7 meses	2		
GB	15	CD	3.75	10 anos e 5 meses	2		
LS	15	CD	9.25	6 anos e 2 meses	2		
JRA	16	CD	9.58	5 anos e 7 meses	2		
DG	16	CD	13.08	9 meses	3		
AF	16	CD	6.25	8 anos e 2 meses	2		
ES	16	CD	8.16	5 anos e 8 meses	2		
GPF	16	CD	6.91	2 anos e 7 meses	3		
JJ	17	CD	9.16	5 anos e 3 meses	2		
JRA	17	CD	9.58	6 anos e 1 mês	2		

Deamb. (deambulante); CD. (cadeirante). TO (Terapia Ocupacional)

APÊNDICE II

Tabela descritiva dos pacientes com AEP quanto à biópsia, tempo e modalidade de Fisioterapia e Terapia Ocupacional (TO).
Deamb. (deambulante); CD. (cadeirante); TO. (Terapia Ocupacional).

Paciente	Tipo	Físico	Idade	Biópsia	Fisioterapia	motora	respiratória	hidroterapia	TO
AEP				Idade / anos	anos/meses	Sessões semanais			
VRV	III	Deamb	6	4.5	3 anos e 3 meses	2			1
JNL	III	Deamb	7	4.16	4 anos	3		2	1
JNL	III	Deamb	7	4.16	4 anos e 6 meses	3		2	1
ESM	II	CD	8	2.16	5 anos e 9 meses	2		2	
JCBA	III	CD	9	8.16	5 anos e 11 meses	2			
ESM	II	CD	9	2.16	6 anos e 3 meses	2		2	
BA	II	CD	10	8.66	8 anos e 1 mês	3	1	1	
BA	II	CD	10	8.66	8 anos e 7 meses	3	1	1	
MHAS	III	CD	11	2.41	10 anos e 9 meses	1			
RC	III	Deamb	11	3.25	7 anos e 7 meses	2			
CHC	III	CD	11	11.41	9 anos e 2 meses	2		2	
COAB	III	CD	12	4.91	8 anos e 11 meses	2			
SSS	III	Deamb	13	2.5	12 anos e 5 meses	2		1	1
HLT	III	CD	13	2.91	10 anos e 3 meses	2			
TV	III	CD	13	4.66	11 anos e 5 meses	2		1	
TSS	III	CD	14	9.33	13 anos e 5 meses	2			
MSRS	III	CD	15	6.08	9 anos e 11 meses	2			
ARSL	II	CD	15	5.33	12 anos e 4 meses	2		3	
MSRS	III	CD	15	6.08	10 anos e 5 meses	2			

APÊNDICE III

Tabela descritiva dos pacientes com DM Cinturas quanto à biópsia, tempo e modalidade de Fisioterapia e Terapia Ocupacional (TO).
Deamb. (deambulante); CD. (cadeirante); TO (Terapia Ocupacional).

Paciente	Idade	Físico	Biópsia	Fisioterapia	motora	respiratória	hidroterapia	TO
DMC			Idade / anos	anos	anos/meses	Sessões semanais		
MB	5		1 ano e 2 meses	3 anos e 6 meses	1			1
MB	6		1 ano e 2 meses	4 anos e 10 meses	1			1
SB	6		1 ano e 10 meses	4 anos e 10 meses	3			1
MF	6		3 anos e 1 mês	11 meses	2			1
SB	7		1 ano e 10 meses	5 anos e 4 meses	3			1
VGSB	7		3 anos e 2 meses	2 anos e 10 meses	2			
ESL	8		2 anos e 11 meses	5 anos e 3 meses	2			
SC	9		9 anos e 11 meses	2 anos e 3 meses	2			
LC	8		4 anos e 3 meses	5 anos e 2 meses	2	2		1
MML	10		8 anos e 2 meses	11 meses	3			
GG	12	CD	5 anos e 2 meses	10 anos	2			1
VCS	12	CD	10 anos e 3 meses	4 anos e 5 meses	2			2
VCS	13	CD	10 anos e 9 meses	4 anos e 10 meses	2			1
EFS	14	CD	2 anos e 2 meses	3	2			
				13 anos e 10				
FLN	15	CD	2 anos e 2 meses	meses	2			1
FAM	16	CD	9 anos e 10 meses	9 anos e 11 meses	2			2
TBFM	16	CD	6 anos e 2 meses	7 anos	2	1		1

APÊNDICE IV

Valores calculados com os dados de entrada – LSI-A

Considerando razão 1:3500 DMD, 1:20000 AEP e 24000 DMC – razão média de 1:15800

Tipo de estudo: **pareado**
Proporção de expostos entre os casos: **5%**
Proporção de expostos entre os controles calculado: **0.00%**
Odds ratio: **15800:1**
Número de controles por caso: **1**
Nível de significância: **5%**
Poder do teste: **95%**
Teste de hipótese: **monocaudal**
Número de casos calculado: **56**
Número de controles calculado: **56**

Valores calculados com os dados de entrada – PedsQL DMD

Tipo de estudo: **pareado**
Proporção de expostos entre os casos: **7%**
Proporção de expostos entre os controles calculado: **0.00%**
Odds ratio: **3500:1**
Número de controles por caso: **1**
Nível de significância: **5%**
Poder do teste: **95%**
Teste de hipótese: **monocaudal**
Número de casos calculado: **41**
Número de controles calculado: **41**