

Стандарты терапии мышечной дистрофии Дюшена

Краткие рекомендации TREAT-NMD

Введение

Данный документ представляет собой краткий обзор рекомендаций TREAT-NMD по стандартам диагностики и лечения мышечной дистрофии Дюшена (МДД).

Первый вариант, основанный на доступных и опубликованных руководствах (смотри Основные ссылки), был изменен после рассмотрения группами экспертов каждой из следующих областей: Диагностика, Неврология, ЖК питание, Пульмонологическая помощь, Кардиологическая помощь, Ортопедия, Психосоциальная помощь, Реабилитация и Гигиена полости рта. Эти краткие рекомендации по стандартам терапии (СТ) МДД разработаны с целью быстрого распространения имеющихся знаний в данной области до появления более детализированных рекомендаций, которые в настоящее время составляет Центр по контролю за заболеваниями США совместно с TREAT-NMD. Данное руководство представляет собой мнение эксперта, в основе которого не лежит проведение систематического обзора, хотя в процессе работы использовался научно-обоснованный подход. В разных странах и регионах сильно отличается возможность выполнения данных рекомендаций. Тем не менее, в регионах, где на сегодняшний день нет возможности соблюдать эти рекомендации, данное руководство может выступать в качестве цели, к которой необходимо стремиться.

Настоящий документ, рекомендации Центра по контролю за заболеваниями и основные рекомендации, имеющие отношения к СТ МДД будут опубликованы на веб-сайте TREAT-NMD в разделе СТ (www.treat-nmd.eu/soc).

Диагностика МДД

- Клинический осмотр: заключается в наблюдении за попытками ребенка бегать, прыгать, ходить вверх по лестнице и встать с пола. Обычно наблюдаются такие симптомы, как патологическая походка с частыми падениями, затруднение при вставании с пола, ходьбе на цыпочках и псевдогипертрофия икроножных мышц. При осмотре можно выявить снижение или исчезновение мышечных рефлексов, а также зачастую положительный симптом Гауэра, т.е. при вставании из лежачего положения ребенок руками поднимает бедра. Большое количество признаков проксимальной мышечной слабости легче определяются в коридоре, чем при консультации в кабинете.
- Сывороточная креатинкиназа (КК): Значительное повышение сывороточной КК (по меньшей мере, в 10-20 раз, а зачастую и намного выше) является неспецифическим, но облигатным признаком. При обнаружении высокого уровня КК необходимо срочно

направить к специалисту для подтверждения диагноза. Практикующий врач должен знать о внепеченочном повышении АСТ и АЛТ при МДД. Неожиданное повышение этих ферментов должно навести на мысль о высоком уровне КК.

- Необходимо провести генетическое тестирование. Приблизительно в 70% случаев будет обнаружено разрушение гена дистрофина, в 6% случаев – его удвоение, а в оставшихся случаях будет присутствовать точечная мутация. Общедоступные генетические тестирования МДД не всегда являются исчерпывающими, а отрицательный результат первичного исследования не исключает заболевание. Очень важно понимать тесты, предлагаемые отдельной лабораторией и их ограничения, поэтому может появиться необходимость в дальнейшей консультации специалиста. Диагноз на основании лабораторных данных может быть выставлен в > 95% случаев.
- Биопсия мышц: Будут наблюдаться общие признаки мышечной дистрофии, в том числе дегенерация мышечных волокон, регенерация мышц и повышение содержания соединительной и жировой ткани. В биоптате мышц дистрофин всегда будет патологическим, что вместе с генетическим тестированием будет подтверждать диагноз. Анализ дистрофина должен сопровождаться молекулярным генетическим тестированием для того, чтобы другим членам семьи можно было предложить генетическое консультирование.
- При профессиональном генетическом консультировании в неотъемлемую часть диагностического процесса входит определение статуса матери как переносчика мутации при помощи молекулярного генетического тестирования. Даже если состояние будет являться результатом новой мутации, в среднем существует 10% риск рецидива, связанного с гонадным мозаицизмом. Если мать является переносчиком мутации, генетическое консультирование также должны пройти сестры и тети (со стороны матери) репродуктивного возраста.
- Поддержка: во время диагностики может оказаться полезным обеспечение контакта с членом группы поддержки, а также с группами поддержки, состоящими из родителей и пациентов, например, с национальными благотворительными организациями для лиц с мышечной дистрофией и Родительским проектом.

Неврология

Применение кортикостероидов при МДД:

- Выбор времени: накопленный опыт указывает на то, что наибольшее улучшение работоспособности наблюдается при назначении препарата во время достижения плато физической работоспособности ребенка или до этого момента (что оценивается при последовательном функциональном тестировании); обычно это наблюдается в возрасте 4 – 6 лет. При отсрочке начала приема стероидов до момента исчезновения способности передвигаться наблюдается меньший функциональный прирост.
- Схемы: наиболее часто суточная доза составляет 0.75 мг/кг/сут преднизона/преднизолона и 0.9 мг/кг/сут дефлазакорта. Эффективность этих препаратов одинаковая, но они слегка

отличаются по профилям побочных действий. Дефлазакорт вызывает меньший прирост массы тела, но обладает более высоким риском возникновения бессимптомной катаракты. Для снижения побочных эффектов, связанных с приемом стероидов, были предложены следующие схемы: прием препарата через день, снижение ежедневной дозы лекарственного средства и прерывистая схема (например, 10 дней приема препарата/ 10 дней перерыв; высокая доза по выходным дням). Важно отметить, что не проводилось сравнение ни одной из этих схем с режимом ежедневного введения, поэтому не известна их относительная эффективность при длительном приеме препарата.

- Исследования до начала терапии стероидами: до начала терапии стероидами необходимо удостовериться в наличии иммунитета к ветряной оспе (а в группах высокого риска – к туберкулезу). Ревакцинация должна быть выполнена в соответствии с современными требованиями, а при необходимости рассматривается вопрос о проведении ревакцинации до 6-летнего возраста.
- Эффективность: контроль эффективности заключается в проведении исследований функции и силы мышц (например, синхронизированные функциональные тесты, оценка двигательной активности по шкале Хаммерсмита, оценка мышечной силы по шкале MRC), в определении ФЖЕЛ и восприятия важности терапии родителями и ребенком.
- Побочные эффекты: контроль и профилактика прогнозируемых побочных эффектов при применении стероидов должны быть неразрывно связаны друг с другом (<http://enmc.org/workshop/?id=21&mid=88>). Основные побочные эффекты: изменение поведения, недостаточное увеличение роста, чрезмерная прибавка массы тела, остеопороз, нарушение толерантности к глюкозе, подавление иммунной системы и надпочечников, диспепсия/ пептические язвы, катаракта и изменения со стороны кожи. Поэтому важно контролировать вес, рост, артериальное давление, использовать тест-полоски для исследования мочи (глюкоза), признаки кушингоида, изменения настроения/поведения/особенности характера, изменения со стороны ЖКТ/кожи, красный рефлекс с глазного дна, переломы костей и рецидивирующие инфекции.
- Со многими побочными эффектами можно бороться без снижения дозы или отмены кортикостероидов. До начала терапии стероидами необходимо дать диетические рекомендации, а затем проводить контроль прироста массы тела, поведенческие изменения можно регулировать психологическим вмешательством и советами по контролю над поведением, параллельно контролю над частотой переломов необходимо дать советы по сохранению здорового состояния костей. Следует избегать сопутствующего назначения нестероидных противовоспалительных препаратов. При появлении боли в животе/ пептических язв следует назначить антациды.
- Снижение дозы: Несмотря на указанные выше профилактические меры, в некоторых случаях может появиться необходимость в снижении дозы. Это происходит в случаях изменения поведения, разрушительно влияющих на семью/ школьную жизнь, прироста массы тела на 25% или повышение массы на 3 процентилля от исходного уровня, отсутствия роста или изменений со стороны кожи (например, угревая сыпь, стрии, гирсутизм), неприемлемых для ребенка/семьи, а также при уровне глюкозы натощак >110 мг/дл (>6.1 ммоль/л) или уровне глюкозы через 2 часа после приема пищи >140 мг/дл (7.8 ммоль/л), необычно высокой частоте инфекций/инфицирования необычными микроорганизмами, персистенция ЖК симптомов (боль в животе, изжога, ЖК кровотечение), несмотря на терапию антацидами.

- Отмена кортикостероидов: Следует прекратить прием кортикостероидов при появлении серьезных и/или неприемлемых побочных эффектов. К этому также могут привести изменения поведения, разрушительно влияющие на семью/школьную жизнь, увеличение массы тела/ отсутствие увеличения роста или изменения со стороны кожи, нежелательные для ребенка/семьи, персистирующие, несмотря на снижение дозы, развитие сахарного диабета, определяемого при увеличении уровня глюкозы натощак >126 мг/дл (7.0 ммоль/л) или уровня глюкозы в крови через 2 часа после приема пищи >200 мг/дл (>11.1 ммоль/л), или подтвержденная гипертензия (повышение систолического артериального давления на 15-30 мм рт. ст. выше 97 перцентиля или повышение диастолического артериального давления на 10-30 мм рт. ст. выше 97^{го} перцентиля для данного роста), необычно высокая частота инфекционных заболеваний/ инфицирование редкими микроорганизмами на фоне приема более низкой дозы кортикостероидов, или наличие симптомов со стороны ЖКТ, недостаточно контролируемые приемом антацидов и использованием более низкой дозы кортикостероидов.
- Постепенное снижение дозы: При необходимости отмены кортикостероидов прекращение их приема должно происходить на протяжении нескольких недель и не сразу. Снижение дозы препарата должно происходить следующим образом: прием 1/2 обычной дозы кортикостероидов в течение первой недели, прием 1/4 дозы в течение второй недели, прием 1/8 дозы в течение третьей недели, а затем происходит полная отмена кортикостероидов.
- Как долго следует назначать терапию стероидами: В некоторых центрах применение стероидов при потере способности передвигаться является обычной практикой, эта терапия оказывает возможное защитное действие на выпрямление позвоночника, функцию дыхательной и сердечно-сосудистой системы. На данный момент нет доказательств благотворного влияния начала терапии стероидами после исчезновения у мальчиков способности передвигаться. Тем не менее, у некоторых пациентов отмечается улучшение функции и форсированной жизненной емкости легких.
- Дополнительную информацию пациенты могут получить в Европейском центре нервно-мышечных болезней (ЕЦНМБ) (www.enmc.org/workshop/?id=21&mid=88), а также в национальных благотворительных учреждениях для лиц с мышечной дистрофией.

ЖК питание

- В адекватных диетических рекомендациях необходимо учитывать молодой возраст пациентов, с акцентом на здоровое питание, которое может благотворно влиять на всю семью, а также со специфическим акцентом на контроле веса, достаточном употреблении кальция и витамина D, а также контролируемом приеме натрия. Особое внимание уделяется контролю аппетита на момент начала приема кортикостероидов.
- У мальчиков без проблем с питанием массу тела следует измерять 1-2 раза в год. При наличии предпосылок к избыточному или недостаточному весу измерения необходимо проводить чаще. В ситуациях, когда ожидается изменение веса, также следует начать контролировать массу тела (например, потеря способности передвигаться, перед обширными оперативными вмешательствами).

- В расчетах идеальной массы тела ребенка учитывается его рост, на нее оказывает влияние безжировая масса тела (например, при мышечной дистрофии Дюшена). Отслеживание веса и роста ребенка по центильным таблицам позволяет определить чрезмерный прирост массы тела. Индекс массы тела (ИМТ) – масса тела, разделенная на рост в квадрате ($\text{кг}/\text{м}^2$, процентиль с учетом возраста и пола ребенка), представляет собой наиболее надежное определение степени ожирения, которое также можно проследить по таблицам. На диетические рекомендации будет оказывать влияние клиническая оценка, в которой принимаются во внимание все аспекты, например, эмоциональные, психологические и семейные особенности.
- Для предотвращения чрезмерного увеличения массы тела врач-диетолог должен давать рекомендации при постановке диагноза, начале терапии стероидами и при потере способности передвигаться. К услугам данного специалиста также следует прибегать при появлении тенденции к дефициту массы тела.
- В случае избыточного веса предпочтительно стремиться к потере массы на 0.5 кг в месяц или стабилизации веса, если отдается предпочтение длительной нормализации.
- Гипотрофия, которая может быть многофакторной проблемой, зачастую появляется после начала использования инвалидной коляски (приблизительно в возрасте 12-13 лет). Первый шаг заключается в оценке питания и при необходимости в коррекции существующей диеты дополнительным употреблением калорийной пищи, богатой белками. При более выраженном недостатке массы тела производится энтеральное питание в ночное время.
- До проведения обширных хирургических вмешательств необходимо определить пищевой статус, в частности, перед операцией следует выявить гипотрофию. У пациентов с избыточной массой тела во время сна могут появляться нарушения со стороны дыхательной системы, поэтому до операции следует определить сатурацию кислорода во время сна.
- У мальчиков, получающих стероиды, при недостаточном поступлении кальция и витамина D с пищей необходимо добавлять их, чтобы достигнуть рекомендованного потребления кальция (4-8 лет: 800 мг/сут; 9-18 лет: 1300 мг/сут) и витамина D (400 МЕ).
- В более поздних стадиях заболевания у пациентов затрудняется процесс глотания, что может приводить к аспирации и/или недоеданию. В таких случаях показано рассмотрение вопроса о кормлении через зонд или наложении чрескожной эндоскопической гастростомии (ЧЭГ).

Пульмонологическая помощь

- Наблюдение за функцией дыхательной системы: Периодическое измерение форсированной жизненной емкости легких (ФЖЕЛ: абсолютный показатель, прогнозируемый по росту, обхвату плеча или длине локтевой кости) позволяет легко оценить прогрессирование слабости дыхательной мускулатуры. При появлении клинических признаков ночной гиповентиляции или при падении ФЖЕЛ до 1.25 л или < 40% от должного показателя, периодическое проведение ночной оксиметрии позволяет обнаружить развитие ночной дыхательной недостаточности. Это легко проводить в

домашних условиях при помощи небольшого портативного датчика. Эти симптомы также следует выявлять при каждом посещении лечебного учреждения.

- Наблюдение за эффективностью кашля: Эффективность кашля позволяет контролировать периодическое измерение максимального воздушного потока при кашлевом толчке (ВПКТ). При показателе ВПКТ у неходячих мальчиков на уровне 160 - 270 л/мин можно использовать методы усиления кашля, например, принудительный кашель, техники увеличения объема легких, устройства, стимулирующие кашель.
- Профилактика инфекций дыхательных путей: При снижении ФЖЕЛ у пациента повышается чувствительность к инфекциям дыхательных путей, поэтому предлагается вакцинировать их от гриппа, коклюша и пневмококковой инфекции.
- Терапия инфекций дыхательных путей: При неэффективности кашля необходимо безотлагательно назначать антибиотики. В таких случаях, а также при появлении необходимости в использовании устройств, стимулирующих кашель, или других техник увеличения объема легких, например, глоссофарингеальное дыхание, следует применять физиотерапию грудной клетки, например, постуральный дренаж и принудительный кашель.
- Терапия ночной гиповентиляции: При каждом визите следует определять симптомы ночной гиповентиляции. Симптоматическая ночная гиповентиляция является показанием для избирательной неинвазивной ночной вентиляции (НИВ). НИВ следует применять в том случае, если при ночной оксикапнографии/ полисомнографии выявляется снижение SaO₂ или повышение pCO₂.
- Если при пробуждении у пациента отмечается повышение pCO₂ или снижение SaO₂ необходимо рассмотреть вопрос о продлении вентиляции в дневное время. Большой комфорт пациента достигается при применении прерывистой вентиляции положительным давлением и использовании мундштука.
- Неотъемлемой частью терапии является обучение пользователя дыхательного аппарата и людей, ухаживающих за пациентом, а также регулярное наблюдение, также необходимо отслеживать осложнения НИВ, например, утечку воздуха, растяжение желудка, сухость слизистых, деформацию костей лицевого скелета.
- Техника анестезии должна быть направлена на минимизацию интра- и послеоперационного угнетения дыхательной и сердечно-сосудистой систем, для чего может потребоваться инвазивный контроль и доступ к интенсивной терапии. Следует избегать применения деполяризующих миорелаксантов, поскольку существует риск гиперкалиемии.

Кардиологическая помощь

- Наблюдение: Кардиологическое обследование (эхокардиография и ЭКГ) показано при постановке диагноза, впоследствии каждые 2 года на протяжении 10 лет, а затем ежегодно, а при появлении отклонений такое обследование проводится чаще. Кардиологическое обследование необходимо проводить перед общей анестезией в

любом возрасте. У пациентов с ограниченным эхокардиографическим акустическим окном можно применять МРТ сердца.

- Необходимо своевременно выявлять и лечить нарушения сердечного ритма. Для выявления дисфункции в работе сердца периодически следует проводить Холтеровское мониторирование.
- Профилактика: При субклиническом ухудшении функции сердца, выявленном при эхокардиографии, следует назначать ингибиторы АПФ. Результаты одного длительного исследования указывают на то, что раннее начало приема ингибиторов АПФ предотвращает более позднее ухудшение. Поэтому в некоторых центрах пациентам в возрасте 5-10 лет в доклинической стадии назначают раннее профилактическое лечение ингибиторами АПФ, хотя общего мнения по этому поводу еще не существует.
- Терапия: Зависит от типа и стадии кардиомиопатии. Наиболее частой формой является дилатационная кардиомиопатия. При наличии прогрессирующих нарушений необходимо одновременно назначить ингибитор АПФ и бета-адреноблокатор или сначала ингибитор АПФ, а затем по показаниям бета-адреноблокатор, а при развитии сердечной недостаточности к терапии добавляются диуретики и другие препараты. У пациентов с тяжелой дисфункцией сердца для профилактики тромбоэмболических осложнений следует назначить антикоагулянтную терапию.
- Аритмии: В любое время могут появиться желудочковые аритмии, но чаще они встречаются в поздней стадии кардиомиопатии при дистрофии. Поэтому у пациентов с выявленной дисфункцией миокарда периодически рекомендуется проводить Холтеровское мониторирование. Изолированные ранние желудочковые экстрасистолы не нуждаются в лечении, но важно тщательно контролировать состояние сердца. При появлении желудочковых экстрасистол высоких градаций необходимо назначать антиаритмические препараты, при выборе препарата принимая во внимание его возможное отрицательное инотропное влияние.
- Носителям мутантного гена кардиологическое обследование (эхокардиография и ЭКГ) проводится каждые пять лет, а при появлении патологических изменений – чаще.

Ортопедия

- Шинирование: У детей, способных ходить, при исчезновении тыльного сгибания в лодыжках, при исчезновении нормальной степени тыльного сгибания, а также до достижения плоскостопия рекомендуется наложение шины на ночь. До потери способности передвигаться рекомендуется применение в дневное время ортопедических аппаратов на голень и стопу (ОАГС).
- У неходячих детей: Рекомендуется использовать ОАГС в сидячем положении, поскольку у них могут появиться болезненные контрактуры, что также может негативно повлиять на осанку. У некоторых детей может появиться необходимость в тенотомии, но после оперативного вмешательства они должны носить ОАГС.
- Для отсрочки развития контрактуры и пролонгирования способности передвигаться, можно использовать ортопедические аппараты на колено, голень и стопу. У неходячих

детей отсрочить развитие контрактур позволяет вертикализатор или шарнирные механизмы.

- При отсутствии длительной терапии кортикостероидами у пациентов с МДД в раннем подростковом возрасте развивается деформация позвоночника. При явном прогрессировании заболевания и достижении угла Кобба в 25 – 30 градусов рекомендуется оперативное вмешательство на позвоночнике.

Психосоциальная помощь

- Каждой семье при постановке диагноза необходимо предложить посещение на дому, чтобы помочь справиться с эмоциональными и практическими проблемами, возникающими при сообщении диагноза. Например, ощущение потерянности, чувства вины, злость при разговоре о заболевании с больным ребенком и родными братьями и сестрами. Проблемы с выходом из дома, со школой, досугом и препятствие независимости.
- На момент изменения потребностей и кризов следует предложить социальную (информация, пропаганда и рекомендации) и психологическую поддержку. Например, сведения о возможности завести еще детей, передвижении/ адаптации в домашних условиях, потери способности передвигаться, оперативных вмешательствах, проблемах со стороны сердечно-сосудистой и дыхательной систем, начале обучения в университете/ работе, продолжительности жизни и смерти.
- Во время эмоциональных/ поведенческих проблем больным детям и членам их семей следует предложить психологическую поддержку.
- Следует рано выявлять затруднения в учебе/ расстройства аутистического спектра и давать рекомендации родителям и учителям относительно того, как справиться с этими трудностями.

Реабилитация

- В централизованном реабилитационном отделении МДД необходимо проводить ежегодную оценку нервной, дыхательной и сердечно-сосудистой систем.
- С момента постановки диагноза, мальчиков один – два раза в год должен осматривать врач узкой специальности (физиотерапевт и эрготерапевт) с опытом работы с лицами, страдающими нервно-мышечными расстройствами. Интервал между посещениями такого специалиста зависит от возраста мальчика, прогрессирования заболевания и функциональной способности.
- Цель проведения этих оценок заключается в составлении плана работы с ребенком, направленного на оптимизацию его физических, социальных и интеллектуальных способностей. План должен обеспечивать готовность профессионалов и родителей к предстоящим событиям и заранее подготовить их к переходу заболевания в следующую

стадию. Оценка физических данных, проводимая через фиксированные интервалы, необходима для определения скорости прогрессирования болезни.

- Основные задачи физиотерапевта и эрготерапевта заключаются в поощрении активности и поддержке функции. Для этого используются вмешательства, позволяющие отсрочить или уменьшить осложнения, связанные со снижением мышечной силы, эти специалисты также дают рекомендации относительно деятельности, перспектив, адаптации и регулирования, позволяющими мальчикам/мужчинам вести социально активную жизнь вместе с семьей и друзьями.
- Для поддержки семьи рекомендуется проведение ежегодного посещения на дому/осмотров, выполняемых многопрофильной бригадой, специализирующейся на реабилитации лиц с МДД, а также посещения физиотерапевтов, эрготерапевтов, социальных работников и учителей.
- Упражнения: Не следует назначать упражнения с сопротивлением, поскольку нет сведений об их пользе, и существует мнение, что они могут усилить поражение мышц. Рекомендуются умеренные активные упражнения, в частности гидротерапия. Дети, получающие стероиды, могут приобрести дополнительные двигательные навыки, например, езда на велосипеде, что способствует независимой игре и общению с ровесниками.
- Инвалидные коляски: Необходимо обеспечить детей инвалидными колясками для улучшения мобильности и независимости. Для избежания постуральных контрактур и плохой осанки в сидячем положении пациентам следует рано предоставлять электрические инвалидные коляски с возможностью наклона всего блока сидения/откидыванием спинки и поддержкой спины.
- Рекомендуется проведение ежегодных централизованных курсов для молодых и взрослых пациентов с МДД и их семей, организованных NMD вместе с централизованным отделением реабилитации.

Гигиена полости рта

- Мальчики с МДД должны посещать стоматолога, имеющего опыт и подробные знания о заболевании, предпочтительно в централизованной или специализированной клинике. Задача стоматолога заключается в обеспечении высококачественной терапии, благополучия и здоровья полости рта, а также он должен оказывать помощь семье и выступать в роли собственного стоматолога мальчика в домашней среде. Этот стоматолог должен знать специфические отличия развития зубов и скелета у мальчиков с МДД и сотрудничать со знающими и опытными ортодонтами.
- Уход за зубами и полостью рта основан на профилактических мерах с целью сохранения хорошей гигиены зубов и полости рта.
- Индивидуально подобранные протезы и технические средства для обеспечения гигиены полости рта особенно важны при начале снижения мышечной силы кистей, плеч и шеи пациента.

Основные ссылки

Bushby K, Muntoni F, Urtizberea A, Hughes R, Griggs R. Report on the 124th EN MC International Workshop. Treatment of Duchenne muscular dystrophy; defining the gold standards of management in the use of corticosteroids. 2-4 April 2004, Naarden, The Netherlands. Neuromuscular Disorders 2004; 4:526-34

Bushby K, Bourke J, Bullock R, Eagle M, Gibson M, and Quinby J. The multidisciplinary management of Duchenne muscular dystrophy. Current Paediatrics 2005; 15: 292-300

Cardiovascular Health Supervision for Individuals Affected by Duchenne or Becker muscular dystrophy. Section on Cardiology and Cardiac Surgery. Pediatrics 2005;116;1569-1573.

Quinlivan R, Roper H, Davie M, Shaw NJ, McDonagh J, Bushby K. Report of a Muscular Dystrophy Campaign funded workshop Birmingham, UK, January 16th 2004. Osteoporosis in Duchenne muscular dystrophy; its prevalence, treatment and prevention. Neuromuscular Disorders 2005; 15:72-79

Duboc D, Meune C, Pierre B, et al. Perindopril preventive treatment on mortality in Duchenne muscular dystrophy: 10 years' follow-up. American Heart Journal 2007;154:596-602.

American Thoracic Society consensus conference (Finder JD, chair). Respiratory care of the patient with Duchenne muscular dystrophy. Am J Crit Care Med 2004; 170:456-465.

Angelini C. The role of corticosteroids in muscular dystrophy: a critical appraisal. Muscle & Nerve 2007; 36:424-435.

Оригинал статьи находится по адресу:

http://www.parentprojectmd.org/site/DocServer/TREAT-NMD_DMD_interim_recommendations.pdf?docID=3781