



Subsecretaría de Salud Pública
División de Planificación Sanitaria
Departamento Evaluación de Tecnologías Sanitarias
y Salud Basada en Evidencia

INFORME DE EVALUACIÓN CIENTÍFICA BASADA EN LA EVIDENCIA DISPONIBLE

Condición de Salud: Distrofia Muscular de Duchenne

Tecnología Sanitaria Evaluada: Ayudas Técnicas

Sistema de Protección Financiera para Diagnósticos y Tratamientos de Alto Costo.
Ley Nº 20.850. “Ley Ricarte Soto”.

Ministerio de Salud. Informe de Evaluación Científica Basada en la Evidencia Disponible Distrofia Muscular Duchenne. Santiago, MINSAL 2017.
Todos los derechos reservados. Este material puede ser reproducido total o parcialmente para fines de
diseminación y capacitación. Prohibida su venta.
Fecha 1ª Edición: 2017



ÍNDICE

1. SOLICITUD.....	4
2. CONDICIÓN DE SALUD ANALIZADA	4
3. TECNOLOGÍAS SANITARIAS ANALIZADAS	4
4. RESUMEN EJECUTIVO	5
Efectividad del Tratamiento.....	5
Análisis Económico.....	5
Implementación y efectos en las redes asistenciales	5
5. DESCRIPCIÓN DE LA ENFERMEDAD	6
Diagnóstico e identificación de subgrupos	6
6. ALTERNATIVAS DISPONIBLES.....	7
Fisioterapia.....	7
Terapia Ocupacional	7
Listado de las Ayudas Técnicas	7
7. ANÁLISIS CRITERIOS DE INGRESO	8
Pertinencia de la indicación	8
Seguridad	8
Umbral	8
Disponibilidad del Fondo	8
8. EFICACIA DE LOS TRATAMIENTOS	9
9. ANÁLISIS ECONÓMICO	10
Resultados y descripción de la evidencia encontrada	10
Impacto Presupuestario.....	12
10. IMPLEMENTACIÓN Y EFECTOS EN LAS REDES ASISTENCIALES	13
Conclusión.....	16
11. REPERCUSIONES ÉTICAS, JURÍDICAS Y SOCIALES.....	17
12. ALCANCE Y PLAZO DE LA EVALUACIÓN	17
13. CONCLUSIÓN	17
REFERENCIAS	18

DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE

1. SOLICITUD

Ayudas técnicas.

2. CONDICIÓN DE SALUD ANALIZADA

Distrofia muscular de Duchenne.

3. TECNOLOGÍAS SANITARIAS ANALIZADAS

Coche neurológico, silla de ruedas eléctrica, sitting, bipedestador, dispositivo de tos asistida, grúa de traslado, ventilador mecánico de traslado (Trilogy), ventilador mecánico no invasivo BIPAP.



4. RESUMEN EJECUTIVO

La Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), es una enfermedad neuromuscular (ENM), de carácter hereditario recesivo ligada al cromosoma X. Las mujeres son habitualmente asintomáticas, pero un pequeño porcentaje de mujeres portadoras presentan formas moderadas de la enfermedad. Se presenta durante la infancia y corresponde a la ENM más frecuente durante esta etapa. La primera manifestación clínica puede ser un retraso en el desarrollo psicomotor, en la adquisición de la marcha independiente; posteriormente aparece dificultad para correr, subir escalas y saltar debido a la gran debilidad muscular proximal. Puede existir una disfunción cognitiva no progresiva, dada la presencia de distrofina en el cerebro.

Efectividad del Tratamiento

Duchenne es una enfermedad incurable, por lo que el tratamiento evaluado son ayudas técnicas para el logro de los objetivos terapéuticos de rehabilitación. Según la norma técnica de la Evaluación científica de la evidencia elaborada por el MINSAL, que tiene como objetivo determinar el proceso de la misma, establece que en el caso de intervenciones cuya efectividad sea evidente sin necesidad de determinarla a través de estudios clínicos, se considerara a la vez significativa y con alta certeza en la evidencia, en este caso aplica que el estudio de eficacia para ayudas técnicas para DMD no se determine.

Análisis Económico

El impacto presupuestario estimado para el año 2017 fue de \$7.253.776.700 millones de pesos.

Implementación y efectos en las redes asistenciales

En general existe un universo bien identificado de pacientes en el sistema público y así mismo la oferta, donde se evidencia brecha en el recurso de fisiatra, terapeuta ocupacional, psicólogo y asistente social.

Problema de Salud	Tratamiento solicitado	¿Fue evaluado?	Favorable / No favorable	Etapa en que se excluye	Observaciones
Duchenne	Ayudas técnicas	Si	No Favorable	Implementación y efectos en las redes asistenciales.	

5. DESCRIPCIÓN DE LA ENFERMEDAD

La Distrofia Muscular de Duchenne (DMD), es una enfermedad neuromuscular (ENM), de carácter hereditario recesivo ligada al cromosoma X. Las mujeres son habitualmente asintomáticas, pero un pequeño porcentaje de mujeres portadoras presentan formas moderadas de la enfermedad. Se presenta durante la infancia y corresponde a la ENM más frecuente durante esta etapa. La primera manifestación clínica puede ser un retraso en el desarrollo psicomotor, en la adquisición de la marcha independiente; posteriormente aparece dificultad para correr, subir escalas y saltar debido a la gran debilidad muscular proximal. Puede existir una disfunción cognitiva no progresiva, dada la presencia de distrofina en el cerebro. El retardo mental leve se ve en 1/3 de los pacientes. Se puede observar un retraso en el lenguaje. La pérdida de la marcha independiente ocurre entre los 7-12 años. Con la pérdida de la deambulación aparecen escoliosis, atrofia por desuso, complicaciones respiratorias, cardíacas, nutricionales, digestivas, osteoporosis y fracturas patológicas. Sin intervención, la edad de muerte es alrededor de los 19 años por insuficiencia respiratoria (75%) o cardíaca (25%)(1).

Por ser una patología ligada al cromosoma X, su presentación se da en varones, siendo su incidencia de 1 en cada 3.500 a 6000 varones nacidos vivos (2,3). Según datos de Orphanet, al año 2016, la prevalencia general de la DMD corresponde a 4.78 casos por cada 100.000 habitantes y de 15.1 casos por cada 100.000 nacidos vivos totales (4). Otros estudios más recientes, basados en revisiones sistemáticas de datos epidemiológicos, sitúa la prevalencia de la DMD, en 3 casos por cada 100.000 habitantes (5).

Diagnóstico e identificación de subgrupos

El diagnóstico se basa en el cuadro clínico, el historial familiar y los resultados de laboratorio (nivel de creatina-quinasa sérica 100-200 veces más elevado de lo normal). La biopsia muscular muestra signos de distrofia y ausencia total de distrofina. El análisis molecular muestra en el gen DMD: delección frame-shift, duplicación o mutación sin sentido. El diagnóstico diferencial incluye la distrofia muscular de Becker y las distrofias musculares de cintura (ver estos términos).

El diagnóstico prenatal es posible en las familias en las que el diagnóstico ha sido confirmado por análisis molecular (6).

6. ALTERNATIVAS DISPONIBLES

Fisioterapia

La fisioterapia como tratamiento en los trastornos neuromusculares ayuda a mantener y aumentar, hasta donde sea posible, el nivel de función y movilidad actual del niño. Sus propósitos principales son: proporcionar una valoración física, minimizar el desarrollo de contracturas, mantener la fuerza muscular y prolongar la movilidad y funcionalidad (7).

Terapia Ocupacional

Este tipo de terapia ayuda a desarrollar destrezas para mejorar la habilidad para bañarse, vestirse, cocinar, comer, jugar, trabajar, etc. Los objetivos específicos son: educación principalmente del paciente y familia; ayudar al niño con los problemas tempranos a nivel motor y favorecer las actividades de la extremidad superior relacionadas con el juego, propio cuidado y colegio; facilitar las ayudas técnicas necesarias para mantener la máxima independencia; valorar las modificaciones arquitectónicas necesarias para ayudar a su movilidad; mantener el rango de movimiento y uso de las extremidades superiores con los dispositivos ortopédicos necesarios; colaborar con el equipo interdisciplinario en lo referente a miembros inferiores y atención respiratoria(7).

Listado de las Ayudas Técnicas

- Coche neurológico
- Silla de ruedas eléctrica
- sitting, bipedestador
- Dispositivo de tos asistida
- Grúa de traslado
- Ventilador mecánico de traslado (Trilogy)
- Ventilador mecánico no invasivo BIPAP.

7. ANÁLISIS CRITERIOS DE INGRESO

Pertinencia de la indicación

Las ayudas técnicas que se evalúan no requieren de registro en el ISP:

Seguridad

No se encontraron alertas sanitarias que hayan sido reportadas después de la comercialización de ayudas técnicas evaluadas en agencias regulatorias internacionales, y que hayan implicado el retiro del dispositivo del mercado.

Umbral

Se estima un costo anual promedio por paciente de aproximadamente 7 millones de pesos. Por ende, el costo por paciente de las ayudas técnicas es superior al umbral nacional.

Se considera una distribución etaria de dispositivos de acuerdo a indicación proporcionada por expertos. Es decir, el uso de dispositivos depende de edad de los pacientes.

Disponibilidad del Fondo

Para efectos del cálculo de este criterio de ingreso, la disponibilidad del fondo se estimó al alza con un fondo disponible calculado de \$13.000 MM de pesos, con el fin de evitar declarar como no evaluables intervenciones en las que posteriormente pudiera constatarse un impacto presupuestario inferior a lo disponible. Lo anterior, en espera de la holgura presupuestaria informada por la Dirección de Presupuestos del Ministerio de Hacienda.

Los presupuestos estimados del tratamiento para las ayudas técnicas no superan el 80% del fondo disponible estimado. El impacto presupuestario de los tratamientos incluidos en esta evaluación es analizado en más detalle en la sección Análisis Económico de este informe.

8. EFICACIA DE LOS TRATAMIENTOS

Según la norma técnica N° 0192 de la Evaluación Científica de la Evidencia del Ministerio de Salud, que tiene como objetivo determinar el proceso de la misma, establece que en el caso de intervenciones cuya efectividad sea evidente sin necesidad de determinarla a través de estudios clínicos, se considerara a la vez significativa y con alta certeza en la evidencia, en este caso aplica que el estudio de eficacia para ayudas técnicas para DMD no se determine.

9. ANÁLISIS ECONÓMICO

En esta etapa se realiza un análisis económico de las ayudas técnicas solicitadas.

Resultados y descripción de la evidencia encontrada

El resultado de la búsqueda no arrojó artículos económicos que evaluaran directamente las ayudas técnicas en DMD, pero se obtuvieron dos estudios uno; de costos de la enfermedad en diversos países de Europa (8) y un análisis de costo-efectividad de una herramienta de autoevaluación de la capacidad funcional de la distrofia muscular de Duchenne (9), los cuales se describen a continuación:

Estudio 1: Social/economic costs and health-related quality of life in patients with Duchenne muscular dystrophy in Europe.

El objetivo de este estudio fue determinar los costos desde la perspectiva de la sociedad y de su calidad de vida, relacionada con la salud (CVRS) de los pacientes con Distrofia muscular de Duchenne (DMD) que vivían en Europa (Bulgaria, Francia, Alemania, Hungría, Italia, España, Suecia y el Reino Unido). Los datos utilizados en este estudio incluyen: características demográficas, utilización de los recursos sanitarios, atención informal, pérdidas de productividad laboral y la CVRS medida a través de cuestionarios informados por los pacientes o sus cuidadores. La HRQOL se midió con el cuestionario EuroQol de 5 dominios (EQ-5D). Los costos se han estimado desde una perspectiva social adoptando un enfoque de abajo hacia arriba.

Resultados: Se incluyeron un total de 422 cuestionarios; 268 provenientes de pacientes con DMD y 154 de cuidadores. El costo medio anual por persona en 2012 varió de € 7.657 en Hungría a € 58.704 en Francia. Los costos directos no relacionados con salud son el mayor componente de los costos totales y la atención informal es el conductor de los costos no relacionados con la asistencia sanitaria. Los costos también se calcularon para diferentes grupos poblacionales: niños y adultos. Con respecto a la CVRS de los pacientes adultos, el puntaje EQ-5D VAS y el índice EQ-5D las puntuaciones fue 50,5 y 0,24, respectivamente.

Se demuestra que la DMD está asociada con una carga económica y está acompañada de muchos costos diferentes. Debido a la naturaleza progresiva y crónica de la DMD, uno de los objetivos más importantes es lograr y mantener el nivel más alto posible de CVRS.

Estudio 2: Economic Evaluation in Duchenne Muscular Dystrophy: Model Frameworks for Cost-Effectiveness Analysis.

El objetivo de este estudio de análisis de costo-efectividad fue desarrollar una herramienta de autoevaluación de la capacidad funcional de la distrofia muscular de Duchenne (DMDSAT). Esta herramienta se basó en una nueva escala de calificación creada específicamente para medir la progresión de la enfermedad en la práctica clínica y los ensayos y modelar la DMD en evaluaciones económicas, y luego compararlo con dos estructuras de modelo alternativas.

Métodos: se construyeron tres modelos de Markov de transición de estado de la cohorte para evaluar la rentabilidad de una intervención hipotética para DMD versus un estándar de atención según ajuste del modelo británico.

El modelo I se basa en el DMDSAT, el modelo II sobre estadios de enfermedad como se define en las directrices de atención clínica de la DMD y el modelo III sobre el estado más severo cuando los pacientes necesitan de la ventilación. Las estructuras conceptuales del modelo fueron formuladas en colaboración con tres expertos en DMD.

Resultados: Se consideró que los tres modelos tenían buena validez con respecto a la idoneidad de la elección de la técnica de modelamiento, la representación conceptual de la enfermedad, los datos de entrada del modelo y los resultados del modelo. Los costos médicos directos de por vida con el estándar de cuidado osciló entre £ 217,510 y £ 284,640, costos totales entre £ 624.240 y £ 713.840, y el número total de años de vida ajustados a la calidad entre 5,96 y 7,17.

Conclusiones: Se presenta una primera versión de un modelo para la evaluación económica de los tratamientos para la DMD con DMDSAT, así como dos marcos alternativos que abarcan clasificación convencional de la progresión de la enfermedad. Los autores sugieren que sus hallazgos deben ser útiles para informar acerca de la tecnología sanitaria sobre evaluaciones y en los programas económicos de salud para el tratamiento de la DMD.

Acuerdos de riesgo compartido

No se identificaron acuerdos de riesgo compartido para ayudas técnicas evaluadas.

Precio Máximo Industrial

Se determinó el precio máximo industrial según el precio de comercialización de las ayudas técnicas, sobre la base de compras públicas. De esta forma, la siguiente tabla muestra estos valores, que son el Precio Máximo Industrial de cada uno de los dispositivos evaluados

Dispositivo	Precio Neto
Silla de ruedas estándar	\$199.900.
Silla de ruedas eléctrica	\$1.600.000
Bipedestador	\$980.000
Grúa de traslado	\$660.240
Ventilación mecánica BIPAP	\$1.039.000
Dispositivo de tos asistida	\$2.456.001

Impacto Presupuestario

La estimación del número de pacientes con distrofia muscular de Duchenne se realiza a partir de las prevalencias e incidencias reportadas en la literatura (10) y en Orphanet. Adicionalmente, la distribución por edad se realiza en base a cifras de Teletón, lo cual permite conocer el tipo y número de dispositivos que están indicados según la edad de los pacientes con esta condición.

De acuerdo a lo anterior, se estima en total a nivel nacional que en 2018 sería 551 los pacientes con Duchenne que se beneficiaría con algún dispositivo.

Los precios de los dispositivos fueron obtenidos desde el portal de compras públicas (www.mercadopublico.cl). Para realizar la proyección a 5 años, se considera un aumento de 3% anual de los precios, cifra consistente con la meta de inflación que posee el Banco Central de Chile. Los dispositivos que se consideraron fueron: silla de ruedas estándar (\$149.000¹) y eléctrica (\$1.600.000), bipedestador (\$980.000), grúa de traslado (\$660.240), ventilación mecánica BIPAP (\$1.039.000) y dispositivo de tos asistida (\$2.456.001).

En la siguiente tabla se presenta el impacto presupuestario proyectado a 5 años. La mayor parte del costo se realiza en el primer año debido a que se trata principalmente de dispositivos (compra inicial) y en los siguientes años el costo se relaciona con casos incidentes, necesidad de nuevos dispositivos por mayor edad y reposición.

Tabla 1. Impacto presupuestario de Duchenne

Patología	2018	2019	2020	2021	2022
Duchenne	3.902.041	103.666	106.776	101.843	113.854

Miles de pesos

¹ Todos los precios son netos.

10. IMPLEMENTACIÓN Y EFECTOS EN LAS REDES ASISTENCIALES

Especialidades requeridas: Neurólogo, Fisiatra, Internista, Broncopulmonar, traumatólogo

Equipo Profesional de Apoyo: Kinesiólogos, Terapeuta Ocupacional, Fonoaudiólogo, Psicólogo y Asistente Social (tabla 2). Se observa brecha en el Recurso de Fisiatra, Psicólogo y Asistente Social. Garantía: Ayudas Técnicas o Dispositivos médicos.

Población Bajo Control: Población Aproximadamente corresponde al 90% de la atención en Teletón (tabla 3).

Exámenes Asociados: Estudio Genético Molecular MLPA del gen de la Distrofia, actualmente se realiza en laboratorio de Universidad Católica de Chile con un costo de \$148.842 y en Clínica Las Condes, con este examen se logra identificar el 60% de los casos, ante negatividad de esto debe realizarse Biopsia muscular con tinción para Distrofias. El examen de Secuenciación del gen de la distrofina no se realiza en Chile.

Red de atención Potencial: Se considera la Red actual de atención que son hospitales de alta complejidad, que cuenten con equipo completo de Rehabilitación.

Tabla 2. Equipo profesional de apoyo

S Salud	Hospital	Recursos Humanos Actuales					
		Kinesiólogo	Terapeuta Ocupacional	Fonoaudiólogo	Trabajador Social	Psicólogo	Jornadas Fisiatra
Arica	Arica	7	1	0			1
Aconcagua	San Camilo	9	1	1			1
Aconcagua	San Juan de Dios	5	0	0			0
Aysén	Coyhaique	9	0	0			0,5
Antofagasta	Antofagasta	6	0	0			1
Antofagasta	Calama	6	0	0			0,5
Araucanía N	Angol	4	0	0			0
Araucanía N	Victoria	6	0	0			0
Araucanía S	HHA Temuco	17	2	0			2,5
Atacama	Copiapó	10	2	0			0,25
Atacama	Vallenar	5	0	0			0
Bio-Bío	V. Rios Ruiz	19	6	1			1
Chiloé	Castro	8	1	0			0

Concepción	Coronel	5	0	0		0
Concepción	Lota	3	0	0,5		0
Concepción	Gmo Grant B	21,5	1	1		3,25
Coquimbo	Coquimbo	14	1	0,5		1,5
Coquimbo	La Serena	11	0	0		0,25
Coquimbo	Ovalle	5	0	0		0
O'Higgins	Rancagua	26	0	1		1,75
O'Higgins	San Fdo	5	0	0		0
Maule	Curicó	13	0	0,5		0
Maule	Linares	6	1	0		0
Maule	Talca	28	2	1		1,25
del Reloncaví	Pto. Montt					3,5
Iquique	Iquique	13	1	0		1
Magallanes	L. Navarro					
SSMC	El Carmen	24	0	0		1,5
SSMC	SBA	30	4	1		3,25
SSMC	HUAP	11	0	0		0
SSMN	R. del Río	17	5	1,5		0
SSMN	San José	17,5	1	1		1,75
SSMN	INCancer	3	1	1		0
SSMOcc	Melipilla	7	0	0		0
SSMOcc	Félix Bulnes	18	2	0		0
SSMOcc	S Juan de Dios	35	3	3		1
SSMOcc	I. Traumatológico	13	2	0		0
SSMOriente	del Salvador	0	3	3		3
SSMOriente	Tisné	3	0	0		0,75
SSMOriente	HLCM	11,5	2	1		0
SSMOriente	INRPAC	8	6,5	4,5		
SSMOriente	INNC	7,5	2	2		0
SSMOriente	IN geriatría	8	5	2		0
SSMOriente	IN del tórax	15	0	0		0
SSMS	Parroquial S. Bdo	0	0	0		1
SSMS	HBLT	29	9,5	4		0
SSMS	El Pino	9	0	1		0
SSMS	HEGC	14	0	0,5		0,5
SSMSO	A. Hurtado	0	0	0		0
SSMSO	S del Río	49,5	3	2		1
SSMSO	La Florida	38	2	2		1,75
Ñuble	Herminda Martin	16	1	0,5		1
Ñuble	San Carlos	7	0	0		0

Osorno	Osorno	16,5	1	1			0,5
Talcahuano	Las Higueras	14,5	0	0			0
Talcahuano	Tomé	4	0	0			0
Valdivia	Valdivia	9	1	0			1
Vlpo/S Antonio	Van Buren	18	3	2			3
Vlpo/S Antonio	C. Vicuña	2	0	1,5			0
Vlpo/S Antonio	E. Pereira	4	0	0			0
Viña/Quillota	Quilpué	3	0	0			0
Viña/Quillota	G. Fricke	12	1	0,5			1
Viña/Quillota	San Martín de Quillota	8	0	0			0

Tabla 3. Población bajo control

TELETÓN	
I TARAPACÁ	15
Iquique	15
II ANTOFAGASTA	5
Antofagasta	5
III ATACAMA	16
Chañaral	1
Copiapó	13
Huasco	2
IV COQUIMBO	25
Choapa	4
El Elqui	14
Limarí	7
IX ARAUCANÍA	15
Cautín	11
Malleco	4
No indicada	1
REGIÓN METROPOLITANA	104
Chacabuco	8
Cordillera	10
Maipo	4
Melipilla	4
Santiago	68
Talagante	10
V VALPARAÍSO	16
Los Andes	1
Petorca	3

Quillota	1
San Felipe	2
Valparaíso	9
VI Lib. G. B. O'HIGGINS	15
Cachapoal	13
Colchagua	2
VII MAULE	23
Curicó	4
Linares	6
Talca	13
VIII BIO-BÍO	37
Arauco	4
Bio-Bío	13
Concepción	14
Ñuble	6
X LOS LAGOS	11
Chiloé	2
Llanquihue	2
Osorno	5
Palena	2
XI AYSÉN	1
Aysén	1
XIV DE LOS RÍOS	7
Valdivia	7
XV ARICA Y PARINACOTA	11
Arica	11
Total	302

Conclusión

No se recomienda. En general existe un universo bien identificado de pacientes en el sistema público y así mismo la oferta, donde se evidencia brecha en el recurso de fisiatra, terapeuta ocupacional, psicólogo y asistente social. Existe limitación de red (menos centros de los requeridos).

En conformidad con el Título III De las Evaluaciones Favorables de la Norma Técnica N° 0192 del Ministerio de Salud, sobre el proceso de evaluación científica de la Evidencia establecido en el artículo 7° de la ley N°20.850, no se continúa con la evaluación.

11. REPERCUSIONES ÉTICAS, JURÍDICAS Y SOCIALES

No se evaluó esta dimensión, en conformidad con el Título III De las Evaluaciones Favorables de la Norma Técnica N° 0192 del Ministerio de Salud, sobre el proceso de evaluación científica de la Evidencia establecido en el artículo 7° de la ley N°20.850.

12. ALCANCE Y PLAZO DE LA EVALUACIÓN

La presente evaluación será actualizada en un plazo máximo de hasta 5 años o al presentarse alguna de las condiciones establecidas en el subtítulo II.ii Alcance y plazo de revisión de la evaluación, de la Norma Técnica N° 0192 del Ministerio de Salud, sobre el proceso de evaluación científica de la Evidencia establecido en el artículo 7° de la ley N°20.850.

13. CONCLUSIÓN

Para dar cumplimiento al artículo 28° del Reglamento que establece el proceso destinado a determinar los diagnósticos y tratamientos de alto costo con Sistema de Protección Financiera, según lo establecido en los artículos 7°y 8° de la ley N°20.850, aprobado por el decreto N°13 del Ministerio de Salud, se concluye que el presente informe de evaluación se considera no favorable, dado el impacto en las redes asistenciales, de acuerdo a lo establecido en el Título III. de las Evaluaciones Favorables de la Norma Técnica N° 0192 de este mismo Ministerio.

REFERENCIAS

1. Valdebenito R RD. Aspectos relevantes en la rehabilitación de los niños con enfermedades neuromusculares. *Rev Médica Clínica Las Condes*. 2014;25(2):295–305.
2. Kleinsteuber K, Gutiérrez M, Avaria DLÁ. Revista Pediatría Electrónica Enfermedades Neuromusculares en Pediatría Revista Pediatría Electrónica. *Rev Ped Elec*. 2005;(Figura 1).
3. Rebeca Valdebenito V, Delia Ruiz R. Aspectos relevantes en la rehabilitación de los niños con enfermedades neuromusculares. *Rev Médica Clínica Las Condes*. 2014;25(2):295–305.
4. Orphanet. Prevalencia de las enfermedades raras: Datos bibliográficos. *Inf Periódicos Orphanet, Ser Enfermedades Raras*. 2016; Marzo:1–79.
5. Deenen JCW, Horlings CGC, Verschuuren JJGM. The Epidemiology of Neuromuscular Disorders : A Comprehensive Overview of the Literature. *J Neuromuscul Dis*. 2015; 2:73–85.
6. ORPHANET. Distrofia muscular de Duchenne [Internet]. Available from: [http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=13913&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=duchenne&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedade\(s\)/grupo de enfermedades=Distrofia-muscular-de-Duchenne&title=Distrofia-muscular-de](http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=ES&data_id=13913&Disease_Disease_Search_diseaseGroup=duchenne&Disease_Disease_Search_diseaseType=Pat&Enfermedade(s)/grupo de enfermedades=Distrofia-muscular-de-Duchenne&title=Distrofia-muscular-de)
7. Asociación Duchenne Parent Project España. Terapias de rehabilitación [Internet]. Available from: <https://www.duchenne-spain.org/que-es-duchenne/tratamiento/terapias-de-rehabilitacion/>
8. Cavazza M, Kodra Y, Armeni P, De Santis M, López-Bastida J, Linertová R, et al. Social/economic costs and health-related quality of life in patients with Duchenne muscular dystrophy in Europe. *Eur J Health Econ*. 2016 Apr;17 Suppl 1:19–29.
9. Landfeldt E, Alfredsson L, Straub V, Lochmüller H, Bushby K, Lindgren P. Economic Evaluation in Duchenne Muscular Dystrophy: Model Frameworks for Cost-Effectiveness Analysis. *Pharmacoeconomics*. 2017 Feb; 35(2):249–58.
10. Deenen JCW, Horlings CGC, Verschuuren JJGM, Verbeek ALM, van Engelen BGM. The Epidemiology of Neuromuscular Disorders: A Comprehensive Overview of the Literature. *J Neuromuscul Dis*. 2015; 2(1):73–85.