



## PESQUISA CLÍNICA EM PEDIATRIA: EXPERIÊNCIA DE DEZESSEIS ANOS DE GESTÃO E ASSISTÊNCIA

QualiJuntos, 1ª edição, de 30/09/2025 a 01/10/2025

ISBN dos Anais: 978-65-5465-161-5

FERREIRA; Juliana Caires de Oliveira Achili<sup>1</sup>, SAKITA; Neusa Keico<sup>2</sup>, FARHAT; Sylvia Costa Lima<sup>3</sup>, CAMPOS; Lucia Maria Mattei de Arruda<sup>4</sup>

### RESUMO

**Introdução:** Cerca de 12 mil estudos clínicos foram iniciados anualmente na última década. Ao considerar estudos que incluem pacientes pediátricos, vemos que, dos 264 estudos clínicos registrados no ClinicalTrials.gov®, apenas 107 foram feitos exclusivamente com crianças e adolescentes. Essa lacuna impacta significativamente no prognóstico de pacientes pediátricos com doenças crônicas e raras sem tratamento específico disponível, pois a pesquisa clínica compreende uma única opção terapêutica para muitos deles. A realização de um estudo clínico pediátrico tem algumas peculiaridades e requer um olhar atento às famílias para garantir a segurança dos pacientes e a aderência ao tratamento, além de uma equipe coesa e dedicada. **Objetivo:** Relatar a experiência do CPC na condução de estudos clínicos pediátricos nos últimos dezesseis anos. **Metodologia:** O Centro de Pesquisa Clínica (CPC) está locado no Instituto de um complexo hospitalar de ensino, de atenção terciária de alta complexidade. Realiza estudos clínicos acadêmicos e patrocinados, que são o foco deste relato. Possui área física e equipamentos adequados para o desenvolvimento dos estudos. **Resultados:** Nos últimos 16 anos, o CPC concluiu 76 estudos clínicos patrocinados nas áreas de reumatologia, nefrologia, oncologia, neurologia, endocrinologia, hepatologia, imunologia, pneumologia, hematologia, infectologia, CCIH, genética e dor, incluindo 111 pacientes nos estudos de intervenção e 172 pacientes nos estudos não intervencionistas, todos na faixa etária pediátrica. Atualmente tem 37 estudos em andamento nas áreas de endocrinologia, imunologia, infectologia, nefrologia, neurologia, oncologia, reumatologia, com 46 pacientes recebendo medicação via oral, intratecal, subcutânea ou endovenosa. Os desenhos de estudo demandam uma parceria muito importante com as famílias, pois o intervalo entre as visitas é pequeno no início dos estudos, com quantidade significativa de procedimentos, em especial coleta de exames laboratoriais para farmacocinética e farmacodinâmica seriada. A enfermagem tem atuação relevante no contato com as famílias, checagem de realização de questionários, medidas antropométricas, administração, transporte e acondicionamento adequado de medicação, transmissão de informações via dispositivo eletrônico, coleta e processamento de exames e envio adequado. O médico é responsável pela revisão dos critérios de inclusão e exclusão

<sup>1</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, juliana.caires@hc.fm.usp.br

<sup>2</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, neusa.keico@hc.fm.usp.br

<sup>3</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, sylvia.farhat@hc.fm.usp.br

<sup>4</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, lucia.campos@hc.fm.usp.br

de cada estudo, pela inclusão dos participantes e avaliação de eventos adversos. Fisioterapeutas e fonoaudiólogas são importantes nos estudos de doenças neuromusculares. Quando necessário são acionados também psicólogo e assistente social, em especial na fase pós-estudo. Adicionalmente, o assistente de pesquisa cuida da parte regulatória, agendamentos e recebimento de suprimentos. A Lei de Pesquisa Clínica publicada em 2024 faz parte da lista dos documentos que a equipe multiprofissional de pesquisa clínica deve conhecer, que inclui treinamentos em boas práticas clínicas, treinamentos específicos de cada estudo, certificação para manuseio e envio de material biológico e POPs institucionais. Durante este período três pacientes evoluíram a óbito decorrente da doença de base, sem relação com a medicação do estudo. A grande maioria dos participantes se beneficiou com o tratamento instituído. Houve uma desistência por parte das famílias, e muitos participantes atualmente estão em fase de pós-estudo. Durante a pandemia causada pela COVID-19, foi identificado um aumento na taxa de problemas de aderência ao tratamento. **Conclusão:** A condução adequada de estudos clínicos demanda uma gestão integrada que trabalha em equilíbrio as competências técnica, educacional, gerencial e organizacional. O cumprimento das normas e seguimento dos protocolos, assim como a integridade dos dados, são fundamentais para o desenvolvimento adequado dos estudos e trilha uma relação de confiança com os patrocinadores, familiares e o próprio paciente, buscando garantir segurança, aderência ao tratamento e bem estar. A pesquisa clínica possibilita ainda ganhos consideráveis, como participação em publicações relevantes no cenário internacional e aquisição de equipamentos para o setor, e principalmente aos participantes das pesquisas e familiares, pelo acesso ao tratamento.

**PALAVRAS-CHAVE:** Pesquisa Clínica, Pediatria, Gestão, Assistência

<sup>1</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, juliana.caires@hc.fm.usp.br

<sup>2</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, neusa.keico@hc.fm.usp.br

<sup>3</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, sylvia.farhat@hc.fm.usp.br

<sup>4</sup> Instituto da Criança e do Adolescente do HCFMUSP, lucia.campos@hc.fm.usp.br