

Caso Lito Souza amplia debate sobre pesquisa clínica e doenças raras



O diagnóstico do influenciador e especialista em aviação Lito Souza trouxe maior visibilidade para uma doença rara e neurodegenerativa: a doença de Creutzfeldt-Jakob (DCJ). Associada ao acúmulo de proteínas priônicas anormais no cérebro, a condição provoca comprometimento neurológico progressivo e, atualmente, não conta com tratamento capaz de interromper ou reverter sua evolução.

Além de ampliar o debate sobre doenças raras, o caso chama atenção para um dos principais caminhos utilizados pela ciência na busca por novas alternativas terapêuticas: a pesquisa clínica.

Os estudos clínicos são realizados com voluntários para avaliar a segurança e a eficácia de medicamentos, vacinas, terapias e outras intervenções antes que possam ser disponibilizados de forma ampla à população. Em doenças para as quais ainda não existem tratamentos específicos, essas pesquisas podem representar uma possibilidade de avanço no conhecimento científico e no desenvolvimento de novas abordagens terapêuticas.

Participação depende de critérios científicos

A possibilidade de participação em um estudo clínico não é automática. Segundo Fernando de Rezende Francisco, diretor-executivo da Associação Brasileira de Organizações Representativas de Pesquisa Clínica (ABRACRO), cada pesquisa estabelece previamente os critérios que devem ser atendidos pelos participantes.

“Para participar de um estudo que já está em andamento, é necessário que o recrutamento ainda esteja aberto e existam vagas disponíveis. O primeiro passo é verificar se o paciente atende aos critérios de inclusão e não apresenta nenhum dos critérios de exclusão definidos no protocolo”, explica.

Esses critérios são definidos de acordo com os objetivos e características de cada pesquisa e podem envolver idade, diagnóstico, estágio da doença, tratamentos anteriores, condições clínicas e outros fatores.

Por isso, a indicação para participação deve ser analisada por profissionais responsáveis pelo estudo e pela assistência médica do paciente, sempre de acordo com o protocolo aprovado.

Doenças raras apresentam desafios adicionais

A realização de estudos clínicos para doenças raras envolve obstáculos específicos. Como algumas dessas condições atingem um número reduzido de pessoas, encontrar voluntários que atendam aos

critérios de uma pesquisa pode ser mais difícil.

Além disso, pacientes com uma mesma doença podem estar distribuídos por diferentes cidades, estados e países. Esse cenário exige, em muitos casos, a colaboração entre centros de pesquisa, instituições e pesquisadores de diferentes localidades.

Os ensaios clínicos também precisam seguir protocolos previamente estabelecidos e passar pelas avaliações éticas e regulatórias previstas em cada país, garantindo que os estudos sejam conduzidos dentro das normas científicas e de proteção aos participantes.

Como encontrar estudos em andamento

Para pacientes e familiares interessados em conhecer pesquisas clínicas, a orientação é buscar informações por meio do médico responsável pelo acompanhamento, além de instituições de pesquisa, organizações de apoio a pacientes e bases públicas de estudos clínicos.

A existência de um estudo para determinada doença, no entanto, não significa necessariamente que todos os pacientes possam participar. É preciso verificar se há pesquisas em fase de recrutamento e se o interessado atende aos critérios definidos no protocolo.

No Brasil, a Lei nº 14.874/2024 estabeleceu diretrizes para pesquisas com seres humanos, criando um marco legal específico para a realização desses estudos no país.

Ciência e novas perspectivas

Para Fernando de Rezende Francisco, a pesquisa clínica tem papel que vai além da avaliação de um medicamento específico. Ela integra um processo científico mais amplo de desenvolvimento e inovação.

“A pesquisa clínica não representa apenas uma etapa para testar um novo medicamento. Ela é essencial para desenvolver tratamentos seguros e eficazes, baseados no processo científico de pesquisa, desenvolvimento e inovação. Para pacientes com doenças raras e ainda sem terapias específicas, cada avanço científico pode representar uma nova perspectiva”, afirma.

O caso de Lito Souza, ao trazer uma doença rara para o debate público, também evidencia a necessidade de ampliar o conhecimento sobre condições pouco frequentes e fortalecer a produção científica. Para pacientes que convivem com doenças sem tratamento específico, o avanço das pesquisas pode contribuir para ampliar o conhecimento sobre a enfermidade e, no longo prazo, abrir caminhos para novas alternativas terapêuticas.

Foto: Divulgação