

INTELIGÊNCIA ARTIFICIAL EM PESQUISA CLÍNICA: REVISÃO SISTEMÁTICA DE LITERATURA

ARTIFICIAL INTELLIGENCE IN CLINICAL RESEARCH: A SYSTEMATIC LITERATURE REVIEW

INTELIGENCIA ARTIFICIAL EN INVESTIGACIÓN CLÍNICA: REVISIÓN SISTEMÁTICA DE LA LITERATURA



10.56238/sevenVIIImulti2026-028

Samy Sousa Sardinha

Instituição: Escola Superior de Ciências da Saúde (ESCS)

E-mail: sammy_sardinha@hotmail.com

Orcid: <https://orcid.org/0009-0003-2967-4770>

José Israel Sanchez Robles

Instituição: Universidade de Rio Verde (UniRV)

E-mail: joseisraelsanchezrobles@gmail.com

Orcid: <https://orcid.org/0000-0003-0061-5112>

Carlos dos Santos Kückelhaus

Instituição: Centro Universitário do Planalto Central Aparecido dos Santos (UNICEPLAC)

E-mail: cscarlossantos@gmail.com

Orcid: <https://orcid.org/0009-0008-0257-6958>

Thales Maia Teixeira

Instituição: Hospital Regional da Asa Norte (Hran)

E-mail: thalesmaiat@hotmail.com

Orcid: <https://orcid.org/0009-0008-0047-4819>

RESUMO

A incorporação da Inteligência Artificial (IA) em pesquisas clínicas tem crescido de forma exponencial nas últimas décadas, acompanhando os avanços das ciências da computação e da saúde. Esta revisão sistemática de literatura buscou mapear as principais aplicações, potencialidades e desafios do uso da IA em diferentes etapas da pesquisa clínica, incluindo descoberta de novos fármacos, seleção de pacientes elegíveis, desenho de ensaios clínicos e monitoramento em tempo real de dados. A metodologia seguiu as recomendações da Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses (PRISMA), com busca em bases como PubMed, SciELO e Web of Science, considerando publicações entre 2020 e 2024. Foram selecionados 28 estudos que atenderam aos critérios de inclusão. Os resultados indicaram que a IA, sobretudo por meio de técnicas de machine learning e deep learning, tem contribuído para reduzir o tempo de desenvolvimento de medicamentos, melhorar a acurácia na triagem de voluntários e aprimorar a segurança dos pacientes. Além disso, observou-se um crescente uso de algoritmos para análise preditiva de desfechos clínicos, contribuindo para decisões mais rápidas e embasadas. Conclui-se que, embora a IA não substitua o rigor metodológico dos ensaios clínicos, ela

se configura como ferramenta complementar e estratégica para acelerar e qualificar a produção de conhecimento em saúde.

Palavras-chave: Inteligência Artificial. Pesquisa Clínica. Machine Learning. Ensaios Clínicos. Saúde Coletiva.

ABSTRACT

The integration of Artificial Intelligence (AI) into clinical research has grown exponentially in recent decades, keeping pace with advancements in computer science and healthcare. This systematic literature review aimed to map the main applications, potential benefits, and challenges of using AI in different stages of clinical research, including drug discovery, eligible patient selection, clinical trial design, and real-time data monitoring. The methodology followed the recommendations of the Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses (PRISMA), with searches conducted in databases such as PubMed, SciELO, and Web of Science, considering publications from 2020 to 2024. Forty-eight studies that met the inclusion criteria were selected. The results indicated that AI, particularly through machine learning and deep learning techniques, has contributed to reducing drug development time, improving the accuracy of participant screening, and enhancing patient safety. Furthermore, there was an observed increase in the use of algorithms for predictive analysis of clinical outcomes, contributing to faster and more informed decision-making. In conclusion, while AI does not replace the methodological rigor of clinical trials, it is a complementary and strategic tool for accelerating and improving the generation of knowledge in the field of health.

Keywords: Artificial Intelligence. Clinical Research. Machine Learning. Clinical Trials. Public Health.

RESUMEN

La incorporación de la Inteligencia Artificial (IA) en la investigación clínica ha experimentado un crecimiento exponencial en las últimas décadas, en consonancia con los avances en informática y ciencias de la salud. Esta revisión sistemática de la literatura tuvo como objetivo identificar las principales aplicaciones, potencialidades y desafíos del uso de la IA en las distintas etapas de la investigación clínica, incluyendo el descubrimiento de nuevos fármacos, la selección de pacientes, el diseño de ensayos clínicos y el monitoreo de datos en tiempo real. La metodología siguió las recomendaciones de PRISMA (Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses), con búsquedas en bases de datos como PubMed, SciELO y Web of Science, considerando publicaciones entre 2020 y 2024. Se seleccionaron 28 estudios que cumplieron los criterios de inclusión. Los resultados indicaron que la IA, especialmente mediante técnicas de aprendizaje automático y aprendizaje profundo, contribuye a reducir el tiempo de desarrollo de medicamentos, mejorar la precisión en la selección de voluntarios y optimizar la seguridad de los pacientes. Además, se observó un creciente uso de algoritmos para el análisis predictivo de resultados clínicos, lo que contribuye a una toma de decisiones más rápida y fundamentada. En conclusión, si bien la IA no reemplaza el rigor metodológico de los ensayos clínicos, se configura como una herramienta complementaria y estratégica para acelerar y mejorar la generación de conocimiento en salud.

Palabras clave: Inteligencia Artificial. Investigación Clínica. Aprendizaje Automático. Ensayos Clínicos. Salud Pública.

1 INTRODUÇÃO

A Inteligência Artificial (IA) consolidou-se nas últimas décadas como uma das tecnologias mais disruptivas da ciência aplicada à saúde. Desde os primeiros sistemas especialistas, como o MYCIN, na década de 1960, até os atuais algoritmos de machine learning e deep learning, observa-se uma evolução sem precedentes na capacidade de processar e analisar grandes volumes de dados biomédicos (Schmidt et al., 2024). Esse avanço é particularmente relevante diante do crescimento exponencial da produção de dados em saúde, impulsionado pela digitalização de prontuários eletrônicos, pela popularização da genômica e pelo uso de dispositivos vestíveis, que fornecem informações contínuas sobre parâmetros fisiológicos (Tan et al., 2024).

A pesquisa clínica, definida como o conjunto de estudos sistemáticos destinados a avaliar eficácia e segurança de intervenções em saúde, enfrenta desafios persistentes, como custos elevados, prazos longos e dificuldades de recrutamento de amostras representativas. O desenvolvimento de um fármaco, por exemplo, pode levar mais de 10 anos e ultrapassar bilhões de dólares em investimentos (Hu et al., 2024). Nesse cenário, a IA surge como aliada estratégica para acelerar o ciclo de inovação, reduzir custos e ampliar a precisão científica, atuando desde a descoberta de moléculas promissoras até a previsão de desfechos clínicos.

Estudos recentes têm destacado o papel da IA como catalisadora da medicina de precisão, permitindo prever respostas individualizadas a terapias com base em dados clínicos, genômicos e ambientais (Lu et al., 2024). Da mesma forma, sua aplicação em estratégias de recrutamento automatizado de pacientes ampliou a representatividade populacional em ensaios clínicos, reduzindo vieses historicamente presentes na literatura biomédica (Han et al., 2024). Esses avanços evidenciam que a IA não é apenas uma ferramenta auxiliar, mas parte integrante da transformação dos paradigmas de pesquisa em saúde coletiva.

No entanto, a incorporação da IA em pesquisa clínica também levanta desafios éticos, regulatórios e sociais. Questões como transparência dos algoritmos, governança dos dados sensíveis e responsabilidade sobre decisões automatizadas demandam regulação clara e vigilância contínua (Schmidt et al., 2024). Para que seus benefícios sejam equitativamente distribuídos, torna-se imprescindível equilibrar inovação tecnológica com princípios de justiça social e equidade.

A descoberta e o desenvolvimento de fármacos constituem uma das áreas em que a IA tem se mostrado mais revolucionária. Tradicionalmente, a triagem molecular e os ensaios pré-clínicos demandam anos de trabalho e investimentos bilionários, com altas taxas de insucesso. Algoritmos de deep learning vêm sendo empregados para analisar milhões de moléculas em bases de dados biomédicos e químicos em questão de semanas, identificando padrões estruturais e interações farmacológicas que indicam maior potencial terapêutico (Stokes et al., 2020). Essa capacidade reduz custos e encurta prazos, acelerando a chegada de novos tratamentos ao mercado.

Um marco nesse processo foi a criação do AlphaFold, sistema que alcançou precisão inédita na previsão estrutural de proteínas, impactando diretamente a identificação de alvos terapêuticos e abrindo novas possibilidades para a biologia estrutural (Jumper et al., 2021). A expansão do AlphaFold Protein Structure Database ampliou o acesso a milhões de estruturas preditas, tornando-se ferramenta indispensável para pesquisadores em todo o mundo (Varadi et al., 2022). Essa integração entre IA e biologia estrutural fortalece o paradigma da medicina de precisão, em que terapias são adaptadas ao perfil biológico individual de cada paciente.

Outro avanço está no drug repurposing, ou reaproveitamento de fármacos. Ao cruzar dados clínicos, genômicos e farmacológicos, algoritmos conseguem identificar novas indicações terapêuticas para medicamentos já existentes, reduzindo o tempo e os custos necessários para o desenvolvimento de tratamentos. Esse recurso foi amplamente explorado durante a pandemia de COVID-19, quando a urgência demandava estratégias rápidas e de baixo custo para testar terapias potenciais (Cortial et al., 2024).

Apesar dos progressos, persistem limitações importantes. A qualidade e a diversidade das bases de dados continuam sendo entraves para a generalização dos modelos preditivos. Conjuntos de dados incompletos ou enviesados podem comprometer a validade científica e gerar riscos de extrapolação inadequada para diferentes populações (Hu et al., 2024). Além disso, os custos associados ao desenvolvimento e treinamento de modelos avançados de IA ainda representam barreira para grupos de pesquisa em países de baixa e média renda, ampliando desigualdades científicas globais (Han et al., 2024).

Diante desses desafios, torna-se fundamental investir em bases de dados mais diversas e padronizadas, além de ampliar a colaboração internacional entre instituições acadêmicas, agências regulatórias e a indústria farmacêutica. Somente a partir de esforços coletivos será possível garantir que a IA, aplicada à descoberta de fármacos, se consolide como recurso científico confiável e acessível em escala global.

Com base nesse contexto, a presente revisão sistemática busca responder à pergunta PICO: Como a Inteligência Artificial tem sido aplicada em diferentes etapas da pesquisa clínica (População: pacientes em ensaios clínicos; Intervenção: uso de IA; Comparação: métodos tradicionais; Outcome: benefícios, limitações e implicações éticas)?

A análise objetiva identificar benefícios, limitações e lacunas na literatura, fornecendo subsídios para orientar práticas científicas e políticas em saúde coletiva. Diante desse panorama, surge a pergunta que norteia esta revisão sistemática: Para populações humanas (P), como intervenções baseadas em IA (I), em comparação com métodos tradicionais ou ausência de IA (C), afetam os desfechos clínicos e metodológicos (O) em estudos de pesquisa clínica entre 2020 e 2024?

Diferentemente de outras revisões disponíveis na literatura, esta pesquisa se apresenta como inédita por integrar de forma sistemática e crítica as múltiplas aplicações da Inteligência Artificial em todas as etapas da pesquisa clínica, desde a descoberta de fármacos até as implicações éticas e sociais. Ao reunir evidências atualizadas do período de 2020 a 2024, o estudo oferece uma visão abrangente e articulada sobre o tema, permitindo identificar não apenas avanços técnicos, mas também lacunas e desafios ainda pouco explorados em revisões anteriores. Dessa forma, esta investigação contribui de maneira original para o debate científico, especialmente no campo da saúde coletiva, ao propor uma análise que alia inovação tecnológica, responsabilidade ética e compromisso com a equidade em saúde.

Objetiva-se, assim, mapear como a IA tem sido aplicada em diferentes etapas da pesquisa clínica (descoberta de fármacos, seleção de pacientes, desenho de ensaios, monitoramento, análise preditiva), identificar os benefícios observados e destacar lacunas e riscos ainda subexplorados.

2 METODOLOGIA

A presente revisão sistemática de literatura foi conduzida conforme as recomendações do Preferred Reporting Items for Systematic Reviews and Meta-Analyses (PRISMA), reconhecido como padrão internacional para a elaboração de revisões de qualidade. O objetivo metodológico foi garantir transparência, reprodutibilidade e rigor científico em todas as etapas do processo, desde a busca bibliográfica até a análise dos estudos selecionados.

2.1 ESTRATÉGIA DE BUSCA

A pesquisa foi realizada entre os meses de agosto e setembro de 2025, em bases de dados de ampla relevância científica, incluindo PubMed/MEDLINE, Web of Science, Scopus e SciELO, de modo a contemplar tanto publicações internacionais quanto estudos produzidos no contexto latino-americano. Foram utilizados descritores controlados do Medical Subject Headings (MeSH) e do Descritores em Ciências da Saúde (DeCS), combinados por operadores booleanos, como: “Artificial Intelligence”, “Machine Learning”, AND “Deep Learning” AND “Clinical Research” AND “Clinical Trials” e seus correspondentes em português. Essa estratégia permitiu maior abrangência e precisão na identificação dos artigos pertinentes ao tema.

2.2 PERÍODO DE PUBLICAÇÃO

Foram considerados estudos publicados entre janeiro de 2020 e dezembro de 2024, período escolhido por refletir a consolidação da IA como ferramenta aplicável ao campo biomédico, sobretudo após os avanços tecnológicos em *deep learning* ocorridos a partir de 2015.

2.3 CRITÉRIOS DE INCLUSÃO

Foram incluídos artigos originais e revisões sistemáticas que abordassem de forma explícita a aplicação de IA em qualquer etapa da pesquisa clínica. Também foram considerados estudos que tratassem de descobertas de fármacos, triagem e recrutamento de pacientes, desenho de ensaios clínicos e monitoramento de dados em tempo real. Apenas trabalhos disponíveis em português, inglês e espanhol foram analisados, respeitando a abrangência linguística da equipe de revisão.

2.4 CRITÉRIOS DE EXCLUSÃO

Foram excluídos editoriais, comentários, resumos de congresso, dissertações e teses não publicadas em periódicos revisados por pares. Também foram desconsiderados estudos com foco exclusivamente em áreas correlatas, como inteligência artificial aplicada à gestão hospitalar ou à saúde populacional, quando não apresentavam relação direta com o escopo da pesquisa clínica. Além disso, artigos que não disponibilizavam texto completo, pagos ou que apresentavam metodologia insuficiente para avaliação crítica também foram eliminados.

2.5 PROCESSO DE SELEÇÃO

A triagem inicial foi feita a partir da leitura de títulos e resumos, seguida pela leitura integral dos artigos potencialmente elegíveis. Dois revisores independentes participaram do processo de seleção e extração de dados, com divergências resolvidas por consenso. Essa abordagem garantiu maior confiabilidade e reduziu o risco de vieses na escolha dos estudos incluídos. Esse rigor metodológico assegura que os resultados apresentados representem uma síntese confiável e atualizada da literatura científica, permitindo uma análise crítica do impacto da IA no avanço da pesquisa clínica contemporânea.

Após a seleção final dos artigos incluídos, foi conduzido um processo sistemático de extração de dados com o objetivo de organizar de forma padronizada as informações relevantes para a revisão. Para isso, foi elaborado um formulário estruturado contendo os seguintes itens: título, ano de publicação, país de origem, periódico, objetivos, tipo de estudo, amostra/população, técnicas de IA utilizadas, área de aplicação na pesquisa clínica, principais resultados e limitações identificadas pelos autores. Essa sistematização permitiu não apenas a análise individual de cada artigo, mas também a comparação entre eles, identificando padrões e divergências.

O processo de extração foi realizado por dois revisores independentes, com conferência cruzada para minimizar erros de transcrição e reduzir o risco de vieses. Em casos de inconsistências ou dúvidas quanto à categorização de determinada informação, um terceiro pesquisador foi consultado, assegurando maior rigor científico.

Com base nos dados coletados, procedeu-se à análise de conteúdo temática, inspirada no referencial metodológico de Laurence Bardin (2011), que consiste em identificar, classificar e interpretar os núcleos de sentido presentes nos estudos. Essa técnica foi escolhida por sua adequação à sistematização de resultados qualitativos e por possibilitar uma leitura crítica dos discursos científicos sobre a aplicação da IA na pesquisa clínica.

Para complementar essa etapa qualitativa, utilizou-se também uma abordagem quantitativa descritiva, com a contagem de frequência das principais técnicas de IA aplicadas, das áreas da pesquisa clínica contempladas e da distribuição temporal e geográfica das publicações. Essa integração de métodos, qualitativo e quantitativo, possibilitou uma compreensão mais abrangente do fenômeno, permitindo tanto a identificação de tendências objetivas quanto a interpretação crítica dos significados atribuídos à IA no campo da saúde.

Os artigos foram, então, organizados em categorias temáticas que refletem os principais eixos de aplicação da IA em pesquisa clínica: Descoberta e desenvolvimento de fármacos com IA; Seleção e recrutamento de pacientes com IA; Desenho e condução de ensaios clínicos com IA; Análise preditiva de desfechos clínicos com IA e as Questões éticas, regulatórias e sociais da Inteligência Artificial na pesquisa clínica. Esse processo de categorização permitiu construir uma visão integrada e crítica, destacando não apenas os benefícios práticos, mas também os dilemas que emergem da aplicação da IA em pesquisas clínicas. O cruzamento entre análise quantitativa e qualitativa fortaleceu a confiabilidade dos achados e ofereceu uma base sólida para a discussão apresentada na próxima seção.

3 RESULTADOS E DISCUSSÕES

A análise dos estudos publicados entre 2020 e 2024 mostra que a IA já impacta de forma transversal o ciclo da pesquisa clínica, desde a descoberta de fármacos até a análise preditiva de desfechos, oferecendo ganhos de eficiência, precisão e representatividade. Ao mesmo tempo, permanecem desafios relacionados à transparência dos algoritmos, padronização metodológica e governança ética (Liu et al., 2023; Cruz Rivera et al., 2022).

3.1 DESCOBERTA E DESENVOLVIMENTO DE FÁRMACOS COM IA

A aplicação da IA na descoberta e desenvolvimento de novos fármacos tem acelerado processos historicamente demorados e custosos. Algoritmos de *machine learning* e *deep learning* têm se mostrado capazes de realizar triagens virtuais em milhões de moléculas, identificando padrões químicos com potencial terapêutico em semanas, em contraste com os anos exigidos pela triagem convencional (Stokes et al., 2020). Esse ganho de eficiência tem se traduzido em redução de custos e

aumento da taxa de sucesso em fases pré-clínicas, tornando a inovação biomédica mais acessível e sustentável.

Além da descoberta de novas moléculas, destaca-se o uso da IA no *drug repurposing*, que consiste em identificar novas indicações terapêuticas para medicamentos já aprovados. Essa estratégia mostrou-se crucial durante a pandemia de COVID-19, quando algoritmos foram aplicados para cruzar dados clínicos e farmacológicos, permitindo a rápida proposição de terapias alternativas (Cortial et al., 2024). O reaproveitamento de fármacos orientado por IA não apenas reduz o tempo necessário para disponibilizar novos tratamentos, como também minimiza riscos, uma vez que a segurança desses compostos já está estabelecida.

Outro marco relevante foi o desenvolvimento do AlphaFold, que revolucionou a biologia estrutural ao prever, com elevada precisão, a conformação tridimensional de proteínas (Jumper et al., 2021). A criação do AlphaFold Protein Structure Database, posteriormente ampliada, disponibilizou milhões de estruturas para a comunidade científica, consolidando-se como recurso fundamental para a identificação de alvos terapêuticos (Varadi et al., 2022). Essa inovação fortalece a lógica da medicina personalizada, ao possibilitar que terapias sejam desenhadas a partir do perfil molecular individual.

Apesar dos avanços, desafios persistem, pois a generalização dos modelos depende da qualidade e diversidade das bases de dados utilizadas, o que ainda representa limitação importante. Conjuntos de dados incompletos ou enviesados podem comprometer a acurácia dos modelos e ampliar desigualdades, especialmente em populações de países de baixa e média renda (Hu et al., 2024). Para superar essas barreiras, especialistas defendem maior padronização metodológica, colaboração internacional e auditorias contínuas sobre o desempenho dos algoritmos (Han et al., 2024).

Assim, os resultados analisados indicam que a IA representa um novo paradigma científico no desenvolvimento de fármacos, mas sua plena incorporação exige equilíbrio entre inovação tecnológica, rigor científico e responsabilidade ética.

3.2 SELEÇÃO E RECRUTAMENTO DE PACIENTES COM IA

A seleção e o recrutamento de pacientes são reconhecidos como etapas críticas para o sucesso dos ensaios clínicos, sendo responsáveis por grande parte dos atrasos e interrupções de estudos. Estima-se que até 80% dos ensaios clínicos enfrentem dificuldades nessa fase, impactando tanto o cronograma quanto os custos da pesquisa (Lu et al., 2024). Nesse contexto, a IA tem se consolidado como recurso estratégico, capaz de processar grandes volumes de registros eletrônicos de saúde (EHRs), bases populacionais e dados genômicos para identificar participantes elegíveis de forma mais rápida e precisa.

A utilização de algoritmos de aprendizado de máquina permite automatizar a triagem de voluntários com base em critérios de inclusão e exclusão dos protocolos, reduzindo a dependência de

processos manuais e aumentando a abrangência da busca (Han et al., 2024). Essa eficiência se traduz não apenas em ganho de tempo, mas também em maior representatividade das amostras, uma vez que pacientes de diferentes contextos étnicos, socioeconômicos e geográficos podem ser incluídos, mitigando vieses historicamente presentes nos ensaios clínicos.

De acordo com Hau et al., (2023) além da triagem inicial, a IA tem sido aplicada na predição de adesão e retenção de participantes. Modelos preditivos, baseados em históricos de saúde e comportamento, conseguem identificar pacientes com maior risco de abandono, possibilitando a implementação de estratégias preventivas, como reforço da comunicação, monitoramento remoto e suporte individualizado. Essa abordagem aumenta a consistência dos estudos, reduz perdas amostrais e contribui para a robustez estatística dos resultados.

Outro avanço importante está no uso do processamento de linguagem natural (PLN). Ferramentas de PLN explicável conseguem interpretar automaticamente critérios de elegibilidade e cruzá-los com informações clínicas estruturadas e não estruturadas, acelerando o pareamento entre pacientes e protocolos. Em oncologia, essa tecnologia tem mostrado resultados promissores ao associar mutações genéticas a estudos específicos, ampliando a precisão da seleção (Ghosh et al., 2024).

Schmidt et al., (2024) discutem que apesar dos avanços, os desafios éticos permanecem centrais. O uso de dados clínicos sensíveis exige conformidade com legislações de proteção de dados, como a LGPD no Brasil e o GDPR na União Europeia. Além disso, algoritmos treinados em bases de dados não diversificadas correm o risco de reproduzir desigualdades e limitar a validade externa dos resultados.

Portanto, a análise dos estudos demonstra que a IA pode transformar o recrutamento e a seleção de pacientes em etapas mais eficientes, inclusivas e confiáveis, desde que acompanhada de governança ética, diversidade de dados e transparência nos processos.

3.3 DESENHO E CONDUÇÃO DE ENSAIOS CLÍNICOS COM IA

O desenho metodológico adequado é determinante para a validade científica dos ensaios clínicos, e a IA tem se destacado como ferramenta capaz de otimizar essa etapa. Algoritmos vêm sendo utilizados para simular cenários clínicos antes do início dos estudos, possibilitando a previsão de taxas de resposta, a identificação de variáveis críticas e a estimativa de tamanhos amostrais mais realistas. Essas simulações reduzem riscos de protocolos inviáveis e fortalecem a representatividade dos resultados (Liu et al., 2020).

Corroborando com Vasey et al., (2022) ao afirmarem que um dos avanços mais promissores é a incorporação de ensaios adaptativos, que permitem ajustes em tempo real à medida que os dados são coletados. Com o apoio da IA, torna-se viável interromper precocemente um estudo quando há evidências robustas de eficácia, ou redirecionar recursos em casos de baixa efetividade. Essa

flexibilidade metodológica contribui para reduzir custos, preservar a segurança dos participantes e melhorar a eficiência na utilização dos recursos disponíveis.

A IA também vem sendo aplicada na randomização inteligente, equilibrando grupos de intervenção e controle de acordo com múltiplas variáveis clínicas, demográficas e genômicas. Essa prática reduz vieses e fortalece a comparabilidade entre os grupos, aumentando a robustez estatística dos achados (Plana et al., 2022). Além disso, algoritmos podem auxiliar no monitoramento da adesão dos voluntários, identificando padrões comportamentais que sinalizam risco de abandono. A partir desses dados, estratégias personalizadas de suporte podem ser implementadas, aumentando a retenção e reduzindo perdas amostrais (Hau et al., 2023).

Outro campo em crescimento é o uso de dispositivos vestíveis e sensores digitais integrados a modelos de IA, que permitem coleta contínua de dados fisiológicos durante os ensaios. Revisões recentes demonstram que essa abordagem aumenta a segurança, possibilitando identificar eventos adversos precocemente e reduzindo a necessidade de visitas presenciais, o que amplia a adesão dos participantes (Smuck et al., 2021; Tan et al., 2024). Essa integração aproxima os ensaios clínicos da prática assistencial cotidiana, favorecendo a aplicação direta dos resultados em sistemas de saúde.

No entanto, persistem desafios regulatórios e metodológicos. Ainda há ausência de padronização internacional quanto ao uso da IA no desenho de ensaios, o que dificulta a validação e a comparação entre estudos. Iniciativas como as extensões CONSORT-AI e SPIRIT-AI representam avanços nesse sentido, mas demandam maior disseminação e adesão global (Liu et al., 2020).

Portanto, os resultados da literatura demonstram que a IA promove uma mudança de paradigma na concepção e condução de ensaios clínicos, tornando-os mais dinâmicos, responsivos e centrados no paciente, desde que acompanhados por regulação clara e validação metodológica rigorosa.

3.4 ANÁLISE PREDITIVA DE DESFECHOS CLÍNICOS COM IA

A previsão de desfechos clínicos representa uma das áreas mais inovadoras da aplicação da IA em pesquisa biomédica. Tradicionalmente, a análise de eficácia terapêutica e segurança é realizada de forma retrospectiva, após a conclusão dos ensaios. Com o uso de algoritmos de *machine learning* e *deep learning*, tornou-se possível antecipar tendências durante a própria condução dos estudos, oferecendo subsídios para intervenções mais rápidas e seguras (Tan et al., 2024).

Modelos preditivos de IA vêm sendo aplicados para estimar a probabilidade de resposta individualizada a terapias, especialmente em áreas como oncologia e cardiologia. Ao integrar dados clínicos, laboratoriais e genômicos, esses algoritmos identificam padrões associados a maior ou menor chance de benefício terapêutico, fortalecendo a lógica da medicina de precisão (Schmidt et al., 2024; Tan et al., 2024). Essa capacidade contribui para otimizar protocolos, personalizar tratamentos e evitar a exposição de pacientes a intervenções ineficazes.

Outro campo de destaque é a detecção precoce de eventos adversos. Estudos recentes demonstraram que algoritmos preditivos, treinados em dados históricos e em informações coletadas em tempo real, são capazes de antecipar complicações clínicas, permitindo a adoção de medidas preventivas antes que ocorram danos graves (Tan et al., 2024). A integração com dispositivos vestíveis e sensores digitais tem ampliado essa capacidade, ao permitir o monitoramento contínuo de parâmetros fisiológicos, aumentando a segurança dos participantes (Smuck et al., 2021).

A aplicação da IA também tem avançado em modelagem de sobrevida e progressão de doenças. Em oncologia, por exemplo, algoritmos têm alcançado alta acurácia na previsão de tempo de progressão tumoral e de resposta a terapias-alvo, superando métodos estatísticos convencionais em alguns cenários (Tan et al., 2024). Em doenças crônicas, como insuficiência cardíaca e diabetes, modelos semelhantes vêm sendo utilizados para prever risco de hospitalização, contribuindo para integrar pesquisa clínica e prática assistencial (Han et al., 2024).

Entretanto, limitações persistem. A diversidade dos dados de treinamento ainda é restrita, com grande parte dos algoritmos desenvolvidos a partir de populações de países de alta renda. Isso compromete a generalização dos modelos e pode reforçar desigualdades globais em saúde (Hu et al., 2024). Além disso, a opacidade de modelos de *deep learning* levanta questionamentos sobre explicabilidade e auditabilidade, fatores essenciais para a confiança científica.

Assim, os resultados analisados indicam que a análise preditiva com IA tem potencial para transformar a pesquisa clínica em direção a abordagens mais proativas, seguras e personalizadas, mas sua consolidação exige diversidade amostral, validação regulatória e transparência metodológica.

3.5 QUESTÕES ÉTICAS, REGULATÓRIAS E SOCIAIS DA INTELIGÊNCIA ARTIFICIAL NA PESQUISA CLÍNICA

Embora os benefícios da IA na pesquisa clínica sejam amplamente reconhecidos, sua incorporação suscita preocupações éticas, regulatórias e sociais que não podem ser negligenciadas. A utilização de algoritmos para apoiar decisões médicas envolve diretamente o bem-estar dos participantes, exigindo governança robusta e princípios de transparência (Schmidt et al., 2024).

A privacidade e proteção de dados pessoais constituem um dos principais desafios. A análise de grandes volumes de registros clínicos, genômicos e demográficos implica no acesso a informações altamente sensíveis, que, se mal geridas, podem expor indivíduos a riscos de estigmatização e discriminação. Embora legislações como a Lei Geral de Proteção de Dados (LGPD) no Brasil e o Regulamento Geral de Proteção de Dados (GDPR) na União Europeia representem avanços importantes, sua aplicação efetiva em ensaios clínicos ainda enfrenta barreiras práticas (Han et al., 2024).

Outro ponto crítico refere-se à responsabilidade sobre decisões automatizadas. Quando um algoritmo contribui para recomendar condutas terapêuticas ou auxilia no monitoramento de pacientes em ensaios clínicos, surge a questão: quem deve responder em caso de erro? A ausência de consenso regulatório sobre essa responsabilidade fragiliza a confiança nos sistemas automatizados, especialmente em contextos de alto risco (Hu et al., 2024).

Do ponto de vista social, há preocupação com a reprodução de desigualdades. Muitos algoritmos são treinados com dados de populações de países de alta renda, o que limita sua aplicabilidade em contextos de maior vulnerabilidade e pode reforçar exclusões históricas no acesso a inovações em saúde (Schmidt et al., 2024). Além disso, a exigência de infraestrutura tecnológica avançada e equipes altamente especializadas restringe a adoção plena da IA em países de baixa e média renda, ampliando o chamado “gap tecnológico” (Han et al., 2024).

No campo regulatório, observa-se ausência de padronização internacional. Embora agências como a FDA e a EMA tenham iniciado a elaboração de diretrizes específicas para uso de IA em saúde, ainda não há consenso global que assegure comparabilidade entre estudos e validade científica universal. Iniciativas como CONSORT-AI e SPIRIT-AI constituem marcos relevantes para aumentar a transparência e a reprodutibilidade, mas sua adesão ainda é limitada (Liu et al., 2020).

Portanto, os resultados da literatura indicam que a consolidação da IA na pesquisa clínica depende de um equilíbrio entre inovação tecnológica, regulação ética e justiça social. Somente com marcos regulatórios claros, diversidade de dados e estratégias voltadas à equidade será possível garantir que os avanços da IA beneficiem de forma justa diferentes populações.

4 CONCLUSÃO

A presente revisão sistemática demonstrou que a IA vem se consolidando como ferramenta estratégica na pesquisa clínica, com aplicações que abrangem desde a descoberta de fármacos até a previsão de desfechos clínicos em tempo real. Embora não substitua os métodos tradicionais, a IA atua como recurso complementar, capaz de acelerar processos, reduzir custos e ampliar a representatividade das amostras, respondendo a desafios históricos relacionados ao desenho de ensaios e à seleção de pacientes. Esse potencial posiciona a IA como elemento central da medicina de precisão e da inovação científica em saúde.

Entretanto, a incorporação da IA exige cautela e responsabilidade. Questões éticas, regulatórias e metodológicas permanecem como barreiras significativas, especialmente no que se refere à transparência dos modelos, à qualidade e diversidade das bases de dados e à necessidade de padronização internacional. Persistem riscos de vieses, possibilidade de reforço de desigualdades e ausência de marcos normativos claros, fatores que podem limitar a plena realização dos benefícios

dessa tecnologia. Dessa forma, a utilização da IA deve ser acompanhada por políticas de governança de dados e por regulamentações que assegurem sua aplicação ética e equitativa.

As limitações desta revisão, como a delimitação temporal (2020–2024) e a heterogeneidade metodológica dos estudos incluídos, evidenciam a necessidade de ampliar a produção científica sobre o tema. A carência de grandes ensaios clínicos multicêntricos e de informações detalhadas sobre algoritmos compromete a avaliação crítica dos resultados e reforça a urgência de pesquisas que desenvolvam modelos explicáveis, auditáveis e aplicáveis a diferentes contextos epidemiológicos. Além disso, investigações futuras devem explorar o impacto da IA na equidade em saúde, analisando se sua aplicação reduz ou amplia desigualdades no acesso à pesquisa clínica.

Assim, esta revisão contribui ao oferecer uma síntese crítica e atualizada da literatura, destacando tanto as potencialidades quanto as limitações da IA na pesquisa clínica contemporânea. As evidências apontam que a consolidação dessa tecnologia dependerá de investimentos em infraestrutura, capacitação de equipes multidisciplinares e fortalecimento de redes internacionais de cooperação científica. Ao equilibrar inovação tecnológica com princípios de justiça social e transparência, será possível transformar o potencial da Inteligência Artificial em ganhos concretos para a saúde coletiva, aproximando a ciência das necessidades reais da sociedade.

REFERÊNCIAS

- ASKIN, S; DENIS BURKHALTER; C. G; DAKROUNI, S. E. Artificial Intelligence Applied to clinical trials: opportunities and regulatory considerations. *Health and Technology*, 2023. DOI: <https://doi.org/10.1007/s12553-023-00738-2>
- BARDIN, L. *Análise de conteúdo*. São Paulo: Edições 70, 2011.
- CHUSTECKI, M. Benefits and Risks of AI in Health Care: Narrative Review. *Interactive Journal of Medical Research*, v. 13, n. 1, 2024. DOI: <https://doi.org/10.2196/53616>
- CORTIAL, L.; MONTERO, V.; TOURLET, S.; et al. Artificial intelligence in drug repurposing for rare diseases: a mini-review. *Frontiers in Medicine*, v. 11, p. 1404338, 2024. DOI: <https://doi.org/10.3389/fmed.2024.1404338>
- CRUZ RIVERA, S; LIU, X; CHAN, A. W, et al. SPIRIT-AI extension: guidelines for clinical trial protocols for interventions involving artificial intelligence. *Nature Medicine*, v. 26, p. 1351-1363, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41591-020-1037-7>
- DAYAN, I; ROTH, H. R; ZHONG, A. et al. Federated learning for predicting clinical outcomes in patients with COVID-19. *Nature Medicine*, v. 27, n. 10, p. 1735-1743, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41591-021-01506-3>
- GHASSEMI, M.; OAKDEN-RAYNER, L.; BEAM, A. L. The false hope of current approaches to explainable AI in health care. *The Lancet Digital Health*, v. 3, n. 11, p. e745-e750, 2021. DOI: [https://doi.org/10.1016/S2589-7500\(21\)00208-9](https://doi.org/10.1016/S2589-7500(21)00208-9)
- GHOSH, S; ABUSHUKAIR, H. M; GANESAN, A; et al. Aproveitando a inteligência artificial explicável para correspondência entre pacientes e ensaios clínicos: um estudo piloto de prova de conceito usando ensaios oncológicos de fase I. *PLoS ONE*, v. 19, n. 10, p. e0311510, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0311510>
- HAN, R; ACOSTA, J. N; SHAKERI, Z; et al. Bias, generalizability, and performance of FDA-cleared AI/ML medical devices: analysis of predicate networks. *The Lancet Digital Health*, v. 6, p. e269-e279, 2024. DOI: [https://doi.org/10.1016/S2589-7500\(24\)00047-5](https://doi.org/10.1016/S2589-7500(24)00047-5)
- HE, Q; XIAO, B; TAN, Y, et al. Integrated multicenter deep-learning system for prognostic risk prediction in bladder cancer from histopathology. *British Journal of Cancer*, v. 130, p. 2286-2296, 2024. DOI: [10.1038/s41698-024-00731-6](https://doi.org/10.1038/s41698-024-00731-6).
- HU, Q; CHEN Y; ZOU D, et al. Predição de eventos adversos a medicamentos usando aprendizado de máquina com base em registros eletrônicos de saúde: uma revisão sistemática e meta-análise. *Front. Pharmacol.* 15:1497397, 2024. DOI: [10.3389/fphar.2024.1497397](https://doi.org/10.3389/fphar.2024.1497397)
- JUMPER, J; EVANS, R; PRITZEL, A. et al. Predição altamente precisa da estrutura de proteínas com AlphaFold. *Nature*, v. 596, p. 583–589, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41586-021-03819-2>
- KATHER, J. N; PEARSON, A. T; HALAMA, N. et al. O aprendizado profundo pode prever a instabilidade de microssatélites diretamente a partir da histologia no câncer gastrointestinal. *Nat Med* 25, 1054–1056 (2019). <https://doi.org/10.1038/s41591-019-0462-y>

LEE, K; MAI, Y; LIU, Z; RAJA, K, et al. CriteriaMapper: automated identification of EHR patients meeting clinical trial eligibility. *Scientific Reports*, v. 14, p. 15762, 2024. DOI: [10.1038/s41598-024-77447-x](https://doi.org/10.1038/s41598-024-77447-x).

LIU, X; CRUZ RIVERA, S; MOHER, D, et al. Reporting guidelines for clinical trials evaluating artificial intelligence interventions: CONSORT-AI and SPIRIT-AI. *Nature Medicine*, v. 26, p. 1364-1374, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41591-020-1034-x>

LU, X; YANG, C; LIANG, L, et al. Artificial intelligence for optimizing recruitment and retention in clinical trials: a scoping review. *Journal of the American Medical Informatics Association*, v. 31, n. 11, p. 2749-2759, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1093/jamia/ocae243>

LIN D, XIONG J, LIU C, et al. Application of Comprehensive Artificial intelligence Retinal Expert (CARE) system: a national real-world evidence study. *Lancet Digit Health*, v. 3, n. 8, p. e486-e495, 2021. DOI: [10.1016/S2589-7500\(21\)00086-8](https://doi.org/10.1016/S2589-7500(21)00086-8).

MURPHY, K; DI RUGGIERO, E; UPSHUR, R, et al. Artificial intelligence for good health: a scoping review of the ethics literature. *BMC Medical Ethics*, v. 22, p. 14, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1186/s12910-021-00577-8>

PLANA, D; SHUNG, D. L; GRIMSHAW, A. A, S et al. Randomized clinical trials evaluating artificial intelligence-enabled interventions in health care: a systematic review. *JAMA Network Open*, v. 5, n. 9, e2233946, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1001/jamanetworkopen.2022.33946>

REDDY, S. Explainability and artificial intelligence in medicine. *The Lancet Digital Health*, v. 4, n. 6, p. e407-e408, 2022. DOI: [https://doi.org/10.1016/S2589-7500\(22\)00029-2](https://doi.org/10.1016/S2589-7500(22)00029-2)

SCHMIDT, J. et al. Mapping the regulatory landscape for AI in healthcare across the EU and UK. *npj Digital Medicine*, v. 7, p. 104, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41746-024-01221-6>

SMUCK, M; ODONKOR, C. A; WILT, J. K et al. The emerging clinical role of wearables: factors for successful implementation in healthcare. *npj Digital Medicine*, v. 4, p. 45, 2021. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41746-021-00418-3>

STOKES, J. M; YANG, K; SWANSON, K, et al. A deep learning approach to antibiotic discovery. *Cell*, v. 180, n. 4, p. 688-702.e13, 2020. DOI: <https://doi.org/10.1016/j.cell.2020.01.021>

TAN, S. Y.; SUMNER, J.; WANG, Y.; YIP, A. W. J. Impacts of remote patient monitoring during care transitions: a systematic review. *npj Digital Medicine*, v. 7, p. 192, 2024. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41746-024-01182-w>

VARADI, M; ANYANGO, S; DESHPANDE M; NAIR, S, et al. AlphaFold Protein Structure Database: massively expanding the structural coverage of protein-sequence space. *Nucleic Acids Research*, v. 50, n. D1, p. D439-D444, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1093/nar/gkac106>

VASEY, B; NAGENDRAN, M; CAMPBELL, B. et al. DECIDE-AI: reporting guideline for the early-stage clinical evaluation of decision support systems driven by AI. *Nature Medicine*, v. 28, p. 924-933, 2022. DOI: <https://doi.org/10.1038/s41591-022-01772-9>