

Identificação dos conceitos de medidas de desfechos de ensaios clínicos em osteogênese imperfeita utilizando a Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde - versão crianças e jovens

Identifying the concepts in outcome measures of clinical trials on osteogenesis imperfecta using the International Classification of Functioning, Disability and Health - version for children and youth

Tatiana Vasconcelos dos Santos¹, Juan Clinton Llerena Júnior², Carla Trevisan Martins Ribeiro³, Saint Clair dos Santos Gomes Júnior⁴

RESUMO

O modelo biopsicossocial da Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde (CIF) tem sido utilizado como referência na prática clínica para identificação e análise dos componentes da funcionalidade presentes em medidas de desfechos. **Objetivo:** Este estudo tem como objetivos identificar os conceitos de medidas de desfecho de ensaios clínicos em Osteogênese Imperfeita, analisar como estes conceitos se relacionam com a Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde versão crianças e jovens (CIF-CJ) e descrever quais componentes da funcionalidade mais avaliados. **Método:** Ensaios clínicos realizados entre 2000 e 2013 em crianças com diagnóstico de Osteogênese Imperfeita foram selecionados a partir de uma revisão nas bases de dados MedLine e Cochrane. As medidas de desfecho foram extraídas e os conceitos significativos de cada medida foram relacionados à CIF-CJ. **Resultados:** Foram incluídos para o estudo 14 artigos. Os conceitos de medidas clínicas e técnicas e de um instrumento de avaliação padronizado (*Pediatric Evaluation of Disability Inventory - PEDI*) foram identificados. Os conceitos das medidas clínicas e técnicas relacionaram-se ao componente da CIF-CJ Funções e Estruturas do Corpo. Os conceitos do PEDI relacionaram-se aos componentes Funções do Corpo e principalmente Atividade e Participação. **Conclusão:** Através do link dos conceitos das medidas de desfecho com a CIF-CJ foi verificado que os ensaios clínicos em OI avaliam principalmente o componente Funções e Estruturas do Corpo. As avaliações da Atividade e Participação e os fatores contextuais ainda são pouco contempladas nestes estudos havendo necessidade de novas pesquisas sobre o efeito das intervenções nestes componentes.

Palavras-chave: Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde, Osteogênese Imperfeita, Avaliação de Resultados (Cuidados de Saúde)

ABSTRACT

The biopsychosocial model from the International Classification of Functioning, Disability, and Health (ICF) has been used as a reference in clinical practice to identify and analyze the functioning components in outcome measures. **Objective:** The objectives of this study were to identify the concepts contained in outcome measures of clinical trials on Osteogenesis Imperfecta, to analyze how these concepts are linked with the ICF - Children and Youth version (ICF-CY) and describe what the functioning components are that are assessed in these studies. **Method:** Randomized controlled trials on children with diagnoses of Osteogenesis Imperfecta carried out between 2000 and 2013 were selected using MedLine and Cochrane. The outcome measures were extracted and the concepts contained in the outcome measures were linked to the ICF-CY. **Results:** Fourteen trials were included. The concepts of clinical and technical measures and of one health assessment instrument (*Pediatric Evaluation of Disability Inventory - PEDI*) were identified. The concepts of clinical and technical measures were linked to the ICF-CY Body Functions and Structures component. The PEDI concepts were linked to the Body Functions and especially to Activity and Participation. **Conclusion:** Using the linking of the concepts of outcome measures to the ICF-CY it was possible to verify that clinical trials on Osteogenesis Imperfecta assessed mainly the Body Functions and Body Structures component. Assessments of Activity and Participation and contextual factors are scarce on these studies. More research is necessary on the effects of interventions on these components.

Keywords: International Classification of Functioning, Disability and Health, Osteogenesis Imperfecta, Outcome Assessment (Health Care)

¹ Fisioterapeuta, Mestranda do Instituto Nacional de Saúde da Mulher, da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira (IFF/Fiocruz).

² Médico, Pesquisador do Instituto Nacional de Saúde da Mulher, da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira (IFF/Fiocruz).

³ Fisioterapeuta, Pesquisadora do Instituto Nacional de Saúde da Mulher, da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira (IFF/Fiocruz).

⁴ Estatístico, Pesquisadora do Instituto Nacional de Saúde da Mulher, da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira (IFF/Fiocruz).

Endereço para correspondência:
Instituto Nacional da Saúde da Mulher da Criança e do Adolescente Fernandes Figueira - Fundação Oswaldo Cruz/Departamento de Genética Médica
Tatiana Vasconcelos dos Santos
Av. Rui Barbosa, 716
Rio de Janeiro - RJ
CEP 22250-020
E-mail: tatiufjf@hotmail.com

Recebido em 17 de Dezembro de 2013.

Aceito em 06 Dezembro de 2014.

DOI: 10.5935/0104-7795.20140027

INTRODUÇÃO

A Osteogênese Imperfeita (OI) é uma doença genética rara do colágeno caracterizada por fragilidade óssea decorrente, na maioria dos casos, de mutações nos genes que produzem colágeno tipo I. Afeta cerca de 1: 5.000-10.000 indivíduos.¹ Entre as principais manifestações clínicas estão fraturas ósseas frequentes, deformidades, frouxidão ligamentar, fraqueza muscular, perda auditiva, baixa estatura, escleras azuladas e dentinogênese imperfeita. Estas manifestações afetam a funcionalidade de várias formas resultando nas incapacidades dos indivíduos com OI.

Várias medidas de desfecho têm sido utilizadas em ensaios clínicos para avaliar intervenções em crianças e adolescentes com OI, porém, há uma falta de entendimento sobre as áreas funcionais cobertas por estes desfechos. Este desconhecimento pode prejudicar a avaliação da resposta a tratamentos de uma forma mais ampla e, além disso, dificultar a escolha dos instrumentos adequados ao objetivo da intervenção. A Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde (CIF)² tem sido utilizada em estudos como um modelo para a compreensão da relação das medidas de desfecho com os componentes da funcionalidade.^{3,4}

A CIF representa uma nova abordagem para o entendimento da funcionalidade e da incapacidade. Anteriormente, através da Classificação Internacional de Deficiências, Incapacidades e Desvantagens (CIDID), a lógica biomédica era utilizada para explicar um modelo linear negativo em que o corpo com impedimento (deficiência) provocaria restrições de habilidades (incapacidades) que por consequência determinaria as desvantagens sociais. A CIF apresenta um modelo biopsicossocial e multidirecional para funcionalidade descrevendo a condição de saúde em suas dimensões biológicas, individuais e sociais e também as relações entre estas dimensões. A incapacidade deixa de ser vista como limitação provocada pela lesão do corpo e passa a ser considerada a partir da interação deste corpo com lesão com o ambiente. A funcionalidade de crianças e jovens é contemplada pela Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde para crianças e jovens (CIF-CJ)⁵ publicada pela Organização Mundial de Saúde em 2007.

No contexto clínico, a CIF pode ser utilizada para avaliação de necessidades, traçar intervenções, reabilitação e avaliação de resultados.⁶ Na avaliação de mudanças que ocorrem em resposta a tratamentos, utilizam-se

as medidas de desfecho que são uma forma de descrever o estado do paciente em relação às manifestações de determinada patologia. Cieza et al.⁷ propuseram inicialmente um conjunto de regras que permitiu que instrumentos de avaliação em saúde fossem relacionados à CIF. Estas regras foram posteriormente revisadas para serem também aplicadas às medidas de desfecho clínicas e técnicas resultando nas atuais oito regras de *link*.⁸ As medidas de desfecho técnicas incluem, por exemplo, os exames laboratoriais e de imagem e as medidas clínicas incluem os testes físicos, cognitivos e análises de atividades como marcha.⁸

A correta utilização das regras propostas e o entendimento de quais componentes da funcionalidade são contemplados nas medidas de desfecho mostra-se de grande importância na escolha de qual instrumento/medida é mais apropriado para determinada pergunta de pesquisa e para melhor interpretação e comparação de resultados entre diferentes estudos.⁸

OBJETIVO

Este trabalho tem por objetivo identificar os conceitos de desfechos de ensaios clínicos em Osteogênese Imperfeita, analisar como estes conceitos se relacionam com a Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde versão crianças e jovens (CIF-CJ) e descrever quais componentes da funcionalidade mais avaliados nestes estudos.

MÉTODOS

A funcionalidade segundo a CIF, refere-se aos aspectos positivos dos componentes Estruturas(s) e Funções do corpo(b), Atividade e Participação(d) e suas interações com os Fatores Contextuais(e) representados pelos fatores ambientais e pessoais. Entende-se como funções corporais as funções fisiológicas dos sistemas orgânicos e estrutura do corpo como as partes anatômicas do corpo. Por sua vez, atividade é compreendida como a execução de uma tarefa pelo indivíduo e a participação como o envolvimento em uma situação de vida, trazendo a perspectiva social da funcionalidade. Os fatores contextuais podem agir como facilitadores ou barreiras para o indivíduo.

Na codificação da CIF, as letras b (Funções do corpo), s (Estruturas do corpo), d (Atividade e Participação), e e (Fatores Ambientais) são seguidas por um código numérico iniciado pelo número do capítulo (primeiro dígito)

seguido de um código de segundo, terceiro ou quarto nível. Quanto maior o nível, mais detalhado é o código.

Foi realizada uma revisão de literatura de ensaios clínicos feitos com crianças e adolescentes com OI a fim de selecionar as medidas de desfecho utilizadas nestes artigos. Após esta fase, os conceitos identificados nas medidas de desfechos foram correlacionados com códigos da classificação de segundo nível da CIF-CJ. Finalmente, as áreas de funcionalidade mais avaliadas nestes estudos foram descritas.

Para a seleção dos artigos foi realizada uma busca nas bases eletrônicas MedLine e Cochrane, no período de 2000 a 2013, considerando o termo "*osteogenesis imperfecta*". Foram incluídos apenas ensaios clínicos randomizados ou revisões sistemáticas publicadas, em crianças (0 a 18 anos) com diagnóstico de OI baseado em critérios clínicos, laboratoriais ou ambos. Todos os tipos de OI foram incluídos neste estudo e qualquer intervenção em OI foi considerada. Os artigos que incluíam crianças com outras patologias além de OI foram excluídos.

A partir da seleção dos artigos, forma extraídas as medidas de desfecho clínicas e técnicas incluindo, por exemplo, testes de força, raios-X, desintometria óssea, exames de sangue e urina e medidas direcionadas aos pacientes como os questionários de avaliação em saúde padronizados.

Seguindo as regras de *link* da CIF com as medidas de desfecho proposta por Cieza et al.⁸ foram retirados os conceitos significativos das medidas de desfecho e feita a relação dos mesmos com categorias de classificação de segundo nível da CIF-CJ. Os conceitos que não puderam ser relacionados a códigos da CIF-CJ foram classificados de 2 formas: "não definível" quando não se mostraram suficientes para fazer a escolha sobre o código mais preciso a ser relacionado, como por exemplo o conceito "qualidade de vida"; e "não coberto" quando apresentaram um conceito não contemplado pela CIF, como exemplo "metabolismo ósseo" foi considerado como não coberto neste estudo. Segundo Cieza et al.⁸ se o conceito da medida de desfecho não estiver explicitado na CIF, pode-se utilizar uma informação adicional para caracterizá-lo. Neste estudo por exemplo, "dor óssea", foi relacionada ao código " b280 - sensação de dor" com informação adicional "óssea".

Os conceitos que referenciavam a mesma categoria da CIF-CJ foram analisados e identificados pelo mesmo código. (Exemplos: os conteúdos do PEDI "habilidade de reconhecer o significado das palavras" e "habilidade de

reconhecer mensagens faladas” foram relacionados a mesma categoria “ b167 - Funções mentais da linguagem”).

O procedimento de *link* foi realizado por dois pesquisadores de forma independente, ambos tinham conhecimento sobre o conteúdo da CIF e sobre as regras de *link*. O consenso entre os dois pesquisadores foi utilizado para se escolher a categoria de segundo nível para cada conceito, em caso de discordância, um terceiro pesquisador treinado para as regras de *link* foi consultado. Os pesquisadores envolvidos no processo foram dois fisioterapeutas e um médico.

Análises descritivas foram utilizadas para determinar a frequência de categorias da CIF-CJ relacionadas aos conceitos das medidas de desfecho. Quando uma categoria apareceu repetidas vezes em um mesmo estudo, ela foi contabilizada apenas uma vez.

As categorias utilizadas foram de segundo nível por entender que os códigos são organizados de forma hierárquica e que as categorias de segundo nível contemplam aspectos das categorias de terceiro e quarto níveis.⁵

A concordância entre os pesquisadores na escolha do componente e na escolha de cada categoria foi analisada a partir do índice *Kappa* utilizando o *software* SPSS versão 17.

RESULTADOS

Foram encontrados inicialmente 39 artigos. Após leitura em sua íntegra, e aplicação dos critérios de elegibilidade, foram selecionados um total de 14 estudos.

Do total de artigos selecionados, 13 (93%) eram relacionados a intervenções medicamentosas em OI, incluindo uso dos bifosfonatos orais ou intravenosos e hormônio de crescimento. Apenas 1 estudo (7%) apresentou como intervenção um programa de treinamento físico.⁹

Na etapa de extração das medidas de desfecho verificou-se que 13 estudos (93%) utilizaram medidas de desfecho clínicas e técnicas (ex: dinamometria, desintometria óssea, raios-X, exames de sangue), 6 estudos (43%) utilizaram questionários de avaliação padronizados (Quadro 1).

Na análise das medidas de desfecho clínicas e técnicas, nove conceitos foram retirados e relacionaram-se apenas aos componentes Funções e Estruturas do Corpo. Cinco conceitos foram relacionados com função do corpo (56%), dois conceitos com estrutura do corpo (22%). Dois conceitos foram classificados como “não cobertos” pela CIF-CJ (22%) (Quadro 2).

Quadro 1. Medidas de desfecho utilizadas em ensaios clínicos em Osteogênese Imperfeita

Clínicas e Técnicas	Instrumentos Padronizados
Capacidade máxima de trabalho ⁹	Health Utility Index-mark III (HUI) ¹²
Pico VO2 ⁹	Self Perception Profile for children (SPPC) ^{9,12}
Desintometria óssea ^{13,17,19,21-24}	Child Health Questionnaire (CHQ) ⁹
Peso ^{12,16,17,18}	Pediatric Evaluation of Disability Inventory (PEDI) ^{16,17,19}
Altura ^{13,14,16,18,23,24}	Score de Bleck ¹⁶
Circunferência da cabeça ¹⁶	Gross Motor Function Measure (GMFM) ¹⁹
Raio X ^{13,21,23,24}	The Brief Assessment of Motor Function (BAMF) ²³
Exame de sangue ^{13,14,15,17,18,20-24}	
Exame de urina ^{13,15,16,17,18,20,21,24}	
Escala de dor ^{15,23}	
Relato de dor ¹⁸	
Dinamômetro ^{15,17}	
Teste de força manual ^{16,23}	

Quadro 2. Relação dos conceitos de medidas de desfecho clínicas e técnicas de ensaios clínicos em OI com as categorias da CIF-CJ

	Conceito da medida de desfecho	Código da CIF-CJ	Categoria da CIF-CJ	Informação Adicional
	Dor óssea	b280	Sensação de dor	Óssea
Funções do corpo	Capacidade física	b455	Funções de tolerância a exercícios	
	Crescimento	b560	Funções de manutenção do crescimento	
	Excreção urinária da medicação	b610	Funções relacionadas à excreção urinária	
	Força muscular	b730	Funções relacionadas a força muscular	
	Densidade óssea	s770	Estruturas musculoesqueléticas adicionais relacionadas ao movimento	
Estruturas do corpo	Estrutura óssea	s770	Estruturas musculoesqueléticas adicionais relacionadas ao movimento	
Não coberto	Metabolismo ósseo			
	Efeitos adversos da medicação			

No componente Funções do Corpo os conceitos foram relacionados a categorias no capítulo 2 (Funções sensoriais e dor), capítulo 4 (Funções do sistema cardiovascular, hematológico, imunológico e respiratório), capítulo 5 (Funções dos sistemas digestivo, metabólico e endócrino), capítulo 6 (Funções genitourinárias e reprodutivas) e capítulo 7 (Funções neuromusculoesqueléticas e relacionadas ao movimento), com uma categoria de cada capítulo sendo escolhida, totalizando 5 códigos (Quadro 2).

No componente Estrutura do Corpo os conceitos foram relacionados a uma categoria no capítulo 7 (Estruturas relacionadas ao movimento) sendo escolhido o mesmo código para os dois conceitos (Quadro 2).

O instrumento de avaliação mais utilizado (21% dos estudos) foi o *Pediatric Evaluation of Disability Inventory* (PEDI)¹⁰ sendo, por esta razão, escolhido para ser relacionado à CIF-CJ. Trata-se de um teste padronizado realizado através

da entrevista estruturada aos pais ou cuidadores sobre aspectos funcionais da criança. O instrumento avalia as habilidades funcionais nas áreas de autocuidado, mobilidade e função social; quantifica o auxílio oferecido pelo cuidador para o desempenho das atividades funcionais e lista as modificações necessárias no ambiente para que a criança desempenhe as tarefas.

Foram analisados 197 itens do PEDI, sendo retirados 81 conceitos para serem relacionados com a CIF-CJ. Onze conceitos (14%) relacionaram-se a códigos do componente Funções do Corpo, sessenta e três conceitos (78%) relacionaram-se ao componente Atividade e Participação, um conceito (1%) relacionou-se a Fatores Ambientais e seis conceitos (7%) foram classificados como “não coberto” pela CIF-CJ. Os conceitos não cobertos referiam à habilidade de descer escadas e rampas, uso de cinto de segurança, uso de roleta de ônibus, transferências para dentro e fora do carro e

ônibus. Foi utilizada a versão validada do PEDI em português para esta análise.¹¹

No componente, Funções do Corpo, os conceitos foram relacionados a quatro categorias no capítulo 1 (Funções mentais globais), uma categoria no capítulo 2 (Funções sensoriais e de dor), uma categoria no capítulo 5 (Funções dos sistemas digestivos, metabólico e endócrino) e duas categorias no capítulo 7 (Funções neuromusculoesqueléticas e relacionadas ao movimento) da CIF-CJ, totalizando oito códigos (Quadro 3).

No componente, Atividade e Participação, os conceitos foram relacionados a quatro categorias no capítulo 1 (Aprendizagem e aplicação do conhecimento), uma categoria no capítulo 2 (Tarefas e demandas gerais), dez categorias no capítulo 4 (Mobilidade), sete categorias no capítulo 5 (Cuidado pessoal), duas categorias no capítulo 6 (Vida doméstica), duas categorias no capítulo 7 (Relações e interações interpessoais) e uma categoria no capítulo 8 (Áreas principais da vida) contabilizando 27 códigos (Quadro 3).

No componente, Fatores Ambientais, o conceito foi relacionado a uma categoria do capítulo 1 (Produtos e tecnologia) totalizando 1 código (Quadro 3).

Através das análises foi verificado que as medidas clínicas e técnicas foram as mais utilizadas e elas apenas mensuraram desfechos relacionados aos componentes Estruturas e Funções do Corpo, sendo estes por consequência os componentes mais avaliados nos ensaios clínicos em OI. As categorias escolhidas para Funções do Corpo relacionaram-se a sensação de dor, tolerância a exercícios, manutenção do crescimento, excreção urinária e força muscular. Para Estruturas do Corpo a categoria relacionou-se a estruturas musculoesqueléticas relacionadas ao movimento.

A análise do PEDI relacionou seus conceitos a categorias pertencentes a Funções do Corpo e principalmente ao componente Atividade e Participação. O primeiro componente foi mais relacionado ao capítulo de “Funções mentais globais” incluindo funções de linguagem, experiência pessoal e de tempo, orientação e funções cognitivas superiores. Em relação ao componente Atividade e Participação, os conceitos do PEDI foram em sua maioria relacionados aos capítulos de “Mobilidade” e “Cuidado Pessoal”. No capítulo de mobilidade as categorias escolhidas relacionaram-se a transferências de posição, deslocamentos dentro e fora do domicílio e uso de membros superiores. No capítulo de cuidado pessoal as categorias relacionaram-se a cuidados de higiene, vestir-se e beber.

Os fatores ambientais não foram avaliados de forma satisfatória nos estudos. O PEDI apresentou apenas um conceito relacionado a uma categoria que contempla uso de tecnologia assistiva na vida diária.

Houve uma concordância excelente entre os pesquisadores quando se analisou apenas os componentes (*Kappa* 86,90%, IC95%, 84,76%-89,04%). Quando se analisou a concordância entre as categorias escolhidas, o valor foi moderado (*Kappa* 50,9%, IC95%, 50,45%-51,34%). Esta análise indica que os pesquisadores concordaram muito na escolha do componente que se relacionava com o conceito, mas na escolha da categoria completa eles divergiram, relacionando o mesmo conceito a categorias diferentes dentro de um componente. Analisando as discordâncias, foi verificado que as diferentes categorias escolhidas tinham muitas vezes sentidos aproximados. Por exemplo, o conceito do PEDI “abrir e fechar a porta” foi relacionado à categoria d440 “uso fino da mão” por um pesquisador e d445 “uso da mão e do

Quadro 3. Categorias da CIF-CJ que foram relacionadas aos conceitos do PEDI

	Código da CIF-CJ	Categoria da CIF-CJ
Funções do corpo	b167	Funções mentais da linguagem
	b180	Funções de experiência pessoal e de tempo
	b114	Funções de orientação
	b164	Funções cognitivas superiores
	b230	Funções auditivas
	b510	Funções de ingestão
	b710	Funções relacionadas a mobilidade das articulações
	b740	Funções de resistência muscular
	d132	Adquirir informação
	d130	Imitar
Atividade e Participação	d163	Pensar
	d175	Resolver problemas
	d230	Realizar a rotina diária
	d440	Uso fino da mão
	d430	Levantar e carregar objetos
	d415	Manter a posição básica do corpo
	d410	Mudar a posição básica do corpo
	d445	Uso da mão e do braço
	d455	Deslocar-se
	d450	Andar
	d460	Deslocar-se por diferentes locais
	d465	Deslocar-se utilizando algum tipo de equipamento
	d430	Levantar e carregar objetos
	d560	Beber
	d520	Cuidado das partes do corpo
	d570	Cuidar da própria saúde
	d510	Lavar-se
d540	Vestir-se	
d530	Cuidados relacionados aos processos de excreção	
d571	Cuidar da própria segurança	
Atividade e Participação	d650	Cuidar dos objetos da casa
	d640	Realização de tarefas domésticas
	d720	Interações interpessoais complexas
	d750	Relações sociais informais
	d880	Envolvimento em jogos e brincadeiras
Fatores ambientais	e115	Produtos e tecnologia para uso pessoal na vida diária

braço" por outro, mostrando que apesar da discordância, os pesquisadores aproximaram-se muito na definição da categoria ao relacionar os conceitos. O fato da CIF possuir categorias diferentes com definições muito próximas pode ser a explicação para o menor valor do *Kappa* quando se comparou as categorias escolhidas pelos pesquisadores.

DISCUSSÃO

As regras de *link* possibilitaram um procedimento padronizado em que medidas de desfecho puderam ser avaliadas a partir do modelo de funcionalidade proposto pela CIF.

Através deste estudo verificou-se que os ensaios clínicos em OI têm focado sua investigação sobre os efeitos da intervenção medicamentosa na estrutura vertebral, na velocidade de crescimento, na redução de deformidade, entre outros desfechos.^{11-17,19-22}

Com a análise das medidas de desfecho destes estudos através das regras de *link* observou-se que há uma preferência no uso de medidas clínicas e técnicas que contemplam o componente Funções e Estruturas do corpo. A literatura ainda é carente de estudos que investiguem se os benefícios deste tipo de intervenção na estrutura e função do corpo se traduzem em benefícios em outras áreas da funcionalidade como atividade e participação de indivíduos com OI.²⁵ É importante a investigação destes componentes porque não há como supor uma relação direta entre a deficiência em nível da função e estrutura do corpo com as limitações de atividade da vida diária e restrição de participação social.

O que este estudo também apontou é que há a necessidade de ensaios clínicos que avaliem os efeitos de outros tipos de intervenção em crianças com OI. Apenas um estudo verificou os efeitos do treinamento físico na melhora da funcionalidade de crianças com a patologia.⁹ O déficit de força muscular e capacidade física é um achado clínico presente em pacientes com OI e podem estar relacionados a incapacidades que estes indivíduos vivem devendo ser melhor investigados.

A seleção da medida de desfecho apropriada depende de fatores como a pergunta de pesquisa, o tipo de intervenção, o conteúdo e as propriedades psicométricas dos instrumentos além da sua disponibilidade para o público que será estudado.²⁶ A OI é uma condição heterogênea com variações clínicas e incapacidades diversas. É necessário que estudos que avaliem intervenções nestes

indivíduos apresentem perguntas de pesquisa que contemplem os vários componentes da funcionalidade.

Foi verificado o baixo uso de questionário/instrumentos de avaliação em ensaios clínicos em OI que poderiam avaliar outros componentes da funcionalidade além da estrutura e função do corpo. Este achado pode ser justificado pela carência de estudos que atestam as características psicométricas de instrumentos para serem utilizados em OI, porém também evidencia a dificuldade de um olhar para além das incapacidades na função e estrutura do corpo, foco preconizado pelo modelo médico no qual se baseou a Classificação Internacional de Doenças (CID-10) e a CIDID.

Nos últimos anos, houve um deslocamento do foco das intervenções em reabilitação pediátrica. O enfoque na estrutura, função do corpo e atividade deu lugar a consideração dos fatores ambientais objetivando a melhora na participação da população pediátrica que recebe a intervenção.²⁷ Neste novo cenário, a reabilitação com foco na família ganhou espaço sendo consideradas importantes na determinação de uma intervenção as necessidades da família e do paciente e aspectos do seu contexto social.²⁸

A avaliação do componente participação é necessária, pois mostra a influência do ambiente inserindo a perspectiva social da funcionalidade. Ao trazer informações sobre o desempenho de um indivíduo em seu ambiente habitual, este componente ajuda a expor a lacuna de função entre um ambiente habitual e um ambiente padronizado fornecendo dados sobre o que pode ser alterado no contexto para melhorar a participação do indivíduo.⁵

A CIF ao se basear no modelo biopsicossocial amplia a perspectiva do modelo médico considerando a experiência de funcionalidade e incapacidade relacionada não apenas a condição de saúde e seus efeitos na estrutura e função do corpo. A funcionalidade e a incapacidade para a CIF são resultados da interação da condição de saúde com um ambiente facilitador ou restritivo. Assim, o instrumento fornece subsídios para a descrição dos impedimentos corporais, para o entendimento das barreiras sociais e como estes se relacionam limitando e restringindo a atividade e participação do indivíduo.

É importante quando se estuda a funcionalidade de indivíduos com deficiência que se escolha instrumentos de mensuração de desfechos que contemplem todos os componentes da funcionalidade como também os fatores contextuais. A análise do PEDI, por

exemplo, mostrou ser este um instrumento que avalia a funcionalidade nos componentes Funções do Corpo e principalmente Atividade e Participação com ênfase nas tarefas relacionadas à mobilidade e cuidados pessoais. Este instrumento pode auxiliar na avaliação de intervenções em OI em complemento as medidas clínicas e técnicas utilizadas.

Para avaliação dos Fatores Ambientais deve ser escolhido outro instrumento para ser utilizado de forma complementar ao PEDI, pois este não mostrou contemplar os aspectos do contexto na avaliação.

Os resultados devem ser interpretados considerando as limitações do estudo. Não foram analisados todos os instrumentos de avaliação descritos nos estudos, apenas o mais utilizado (PEDI). A escolha foi feita após a conclusão que devido a baixa utilização dos outros instrumentos eles acrescentariam pouco a discussão do trabalho.

CONCLUSÃO

Utilizando como referência a CIF-CJ foi verificado que os conceitos de medidas de desfecho em ensaios clínicos em OI relacionavam-se principalmente aos componentes Funções e Estruturas do Corpo. O componente Atividade e Participação e Fatores Contextuais ainda são pouco avaliados nestes estudos. O PEDI, apesar de pouco utilizado, mostrou ser um bom instrumento para avaliação do componente Atividade e Participação sendo uma opção para ser utilizada em complemento às medidas clínicas e técnicas em ensaios clínicos em OI. Há necessidade de mais estudos sobre os efeitos de outras intervenções além da medicamentosa na funcionalidade de crianças e jovens com OI.

REFERÊNCIAS

1. Engelbert RHH, Custers JWH, van der Net J, van der Graaf Y, Beemer FA, Helders PJM. Functional outcome in osteogenesis imperfecta: disability profiles using the PEDI. *Pediatric Phys Ther.* 1997;9(1):18-22. DOI:<http://dx.doi.org/10.1097/00001577-199709010-00004>
2. CIF: Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde. São Paulo: EDUSP; 2003.
3. Brockow T, Cieza A, Kuhlow H, Sigl T, Franke T, Harder M, et al. Identifying the concepts contained in outcome measures of clinical trials on musculoskeletal disorders and chronic widespread pain using the International Classification of Functioning, Disability and Health as a reference. *J Rehabil Med.* 2004;(44 Suppl):30-6.

4. Silva Drummond A, Ferreira Sampaio R, Cotta Mancini M, Noce Kirkwood R, Stamm TA. Linking the Disabilities of Arm, Shoulder, and Hand to the International Classification of Functioning, Disability, and Health. *J Hand Ther.* 2007;20(4):336-43. DOI: <http://dx.doi.org/10.1197/j.jht.2007.07.008>
5. CIF-CJ: Classificação Internacional de Funcionalidade, Incapacidade e Saúde: versão crianças e jovens. São Paulo: EDUSP; 2011.
6. Stucki G, Cieza A, Ewert T, Kostanjsek N, Chatterji S, Ustün TB. Application of the International Classification of Functioning, Disability and Health (ICF) in clinical practice. *Disabil Rehabil.* 2002;24(5):281-2. DOI: <http://dx.doi.org/10.1080/09638280110105222>
7. Cieza A, Brockow T, Ewert T, Amman E, Kollerits B, Chatterji S, et al. Linking health-status measurements to the international classification of functioning, disability and health. *J Rehabil Med.* 2002;34(5):205-10. DOI: <http://dx.doi.org/10.1080/165019702760279189>
8. Cieza A, Geyh S, Chatterji S, Kostanjsek N, Ustün B, Stucki G. ICF linking rules: an update based on lessons learned. *J Rehabil Med.* 2005;37(4):212-8. DOI: <http://dx.doi.org/10.1080/16501970510040263>
9. Van Brussel M1, Takken T, Uiterwaal CS, Pruijs HJ, Van der Net J, Helden PJ, et al. Physical training in children with osteogenesis imperfecta. *J Pediatr.* 2008;152(1):111-6. DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jpeds.2007.06.029>
10. Haley SM, Coster WJ, Ludlow LH, Haliwanger JT, Andrellos PJ. Pediatric Evaluation Disability Inventory (PEDI) development, standardization and administrations manual. Boston: PEDI Research Group, New England Medical Center Hospitals; 1992.
11. Mancini MC. Inventário de avaliação pediátrica de incapacidade (PEDI): manual da versão brasileira adaptada. Belo Horizonte: UFMG; 2005.
12. Kok DH, Sakkars RJ, Janse AJ, Pruijs HE, Verbout AJ, Castelein RM, et al. Quality of life in children with osteogenesis imperfecta treated with oral bisphosphonates (Olpadronate): a 2-year randomized placebo-controlled trial. *Eur J Pediatr.* 2007;166(11):1155-61. DOI: <http://dx.doi.org/10.1007/s00431-006-0399-2>
13. Antoniazzi F, Monti E, Venturi G, Franceschi R, Doro F, Gatti D, et al. GH in combination with bisphosphonate treatment in osteogenesis imperfecta. *Eur J Endocrinol.* 2010;163(3):479-87. DOI: <http://dx.doi.org/10.1530/EJE-10-0208>
14. DiMeglio LA, Ford L, McClintock C, Peacock M. A comparison of oral and intravenous bisphosphonate therapy for children with osteogenesis imperfecta. *J Pediatr Endocrinol Metab.* 2005;18(1):43-53. DOI: <http://dx.doi.org/10.1515/JPEM.2005.18.1.43>
15. Rauch F, Munns CF, Land C, Cheung M, Glorieux FH. Risedronate in the treatment of mild pediatric osteogenesis imperfecta: a randomized placebo-controlled study. *J Bone Miner Res.* 2009;24(7):1282-9. DOI: <http://dx.doi.org/10.1359/jbmr.090213>
16. Sakkars R, Kok D, Engelbert R, van Dongen A, Jansen M, Pruijs H, et al. Skeletal effects and functional outcome with olpadronate in children with osteogenesis imperfecta: a 2-year randomised placebo-controlled study. *Lancet.* 2004;363(9419):1427-31. DOI: [http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736\(04\)16101-1](http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736(04)16101-1)
17. Ward LM, Rauch F, Whyte MP, D'Astous J, Gates PE, Grogan D, et al. Alendronate for the treatment of pediatric osteogenesis imperfecta: a randomized placebo-controlled study. *J Clin Endocrinol Metab.* 2011;96(2):355-64. DOI: <http://dx.doi.org/10.1210/jc.2010-0636>
18. Antoniazzi F, Zamboni G, Lauriola S, Donadi L, Adami S, Tatò L. Early bisphosphonate treatment in infants with severe osteogenesis imperfecta. *J Pediatr.* 2006;149(2):174-9. DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jpeds.2006.03.013>
19. Bishop N, Harrison R, Ahmed F, Shaw N, Eastell R, Campbell M, et al. A randomized, controlled dose-ranging study of risedronate in children with moderate and severe osteogenesis imperfecta. *J Bone Miner Res.* 2010;25(1):32-40. DOI: <http://dx.doi.org/10.1359/jbmr.090712>
20. Ward LM, Denker AE, Porras A, Shugarts S, Kline W, Travers R, et al. Single-dose pharmacokinetics and tolerability of alendronate 35- and 70-milligram tablets in children and adolescents with osteogenesis imperfecta type I. *J Clin Endocrinol Metab.* 2005;90(7):4051-6. DOI: <http://dx.doi.org/10.1210/jc.2004-2054>
21. DiMeglio LA, Peacock M. Two-year clinical trial of oral alendronate versus intravenous pamidronate in children with osteogenesis imperfecta. *J Bone Miner Res.* 2006;21(1):132-40.
22. Barros ER, Saraiva GL, de Oliveira TP, Lazaretti-Castro M. Safety and efficacy of a 1-year treatment with zoledronic acid compared with pamidronate in children with osteogenesis imperfecta. *J Pediatr Endocrinol Metab.* 2012;25(5-6):485-91. DOI: <http://dx.doi.org/10.1515/jpem-2012-0016>
23. Letocha AD, Cintas HL, Troendle JF, Reynolds JC, Cann CE, Chernoff EJ, et al. Controlled trial of pamidronate in children with types III and IV osteogenesis imperfecta confirms vertebral gains but not short-term functional improvement. *J Bone Miner Res.* 2005;20(6):977-86. DOI: <http://dx.doi.org/10.1359/JBMR.050109>
24. Gatti D, Antoniazzi F, Prizzi R, Braga V, Rossini M, Tatò L, et al. Intravenous neridronate in children with osteogenesis imperfecta: a randomized controlled study. *J Bone Miner Res.* 2005;20(5):758-63. DOI: <http://dx.doi.org/10.1359/JBMR.041232>
25. Moreira CLM, Lima MAF, Cardoso MHC, Gomes Junior SCS, Lopes PB, Llerena Junior JC. Determinantes da marcha independente na osteogênese imperfeita. *Acta Ortop Bras.* 2011;19(5):312-5. DOI: <http://dx.doi.org/10.1590/S1413-78522011000500010>
26. Vargus-Adams J. Understanding function and other outcomes in cerebral palsy. *Phys Med Rehabil Clin N Am.* 2009;20(3):567-75. DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.pmr.2009.04.002>
27. Björck-Åkesson E, Wilder J, Granlund M, Pless M, Simeonsson R, Adolfsson M, et al. The International Classification of Functioning, Disability and Health and the version for children and youth as a tool in child habilitation/early childhood intervention--feasibility and usefulness as a common language and frame of reference for practice. *Disabil Rehabil.* 2010;32 Suppl 1:S125-38.
28. Palisano RJ. A collaborative model of service delivery for children with movement disorders: a framework for evidence-based decision making. *Phys Ther.* 2006;86(9):1295-305. DOI: <http://dx.doi.org/10.2522/ptj.20050348>