



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
2018 - Año del Centenario de la Reforma Universitaria

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-000233-18-1

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000233-18-1, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma PTC Therapeutics, Inc., representado en Argentina por MEDPACE ARGENTINA S.R.L., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: UN ESTUDIO DE FASE 3, ALEATORIZADO, DOBLE CIEGO, CONTROLADO CON PLACEBO, SOBRE LA EFICACIA Y SEGURIDAD DE ATALUREN EN PACIENTES CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE POR MUTACIONES SIN SENTIDO Y EXTENSIÓN ABIERTA , Protocolo V 1.0 del 23/02/2017 Carta de clarificación al protocolo dirigida al investigador principal de fecha 06 de marzo de 2018.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria, documentación y enviar material biológico al exterior.

Que tomó intervención el Comité de Ética en Investigación (CEI), acreditado por la Autoridad Sanitaria jurisdiccional correspondiente, el cual ha aprobado el protocolo, el modelo de consentimiento informado para el paciente, como así también la participación del investigador principal y el centro propuesto.

Que el informe técnico de la Dirección de Evaluación y Registro de Medicamentos, (DERM-INAME) resulta favorable.

Que la Dirección General de Asuntos Jurídicos ha tomado la intervención de su competencia.

Que se aconseja acceder a lo solicitado por haberse cumplimentado lo establecido en la Disposición ANMAT N° 6677/10, sus modificatorias y complementarias, que aprueba el Régimen de Buena Práctica Clínica para Estudios de Farmacología Clínica.

Que se actúa en virtud a las facultades conferidas por el Decreto N° 1490/92 y del Decreto N° 101 de fecha 16 de Diciembre de 2015.

Por ello;

DISPOSICION Nº:4087
EL ADMINISTRADOR NACIONAL DE LA ADMINISTRACIÓN NACIONAL DE
MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA

DISPONE:

ARTICULO 1°.- Autorízase a la firma PTC Therapeutics, Inc. representado en Argentina por MEDPACE ARGENTINA S.R.L. a realizar el estudio clínico denominado: UN ESTUDIO DE FASE 3, ALEATORIZADO, DOBLE CIEGO, CONTROLADO CON PLACEBO, SOBRE LA EFICACIA Y SEGURIDAD DE ATALUREN EN PACIENTES CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE POR MUTACIONES SIN SENTIDO Y EXTENSIÓN ABIERTA , Protocolo V 1.0 del 23/02/2017 Carta de clarificación al protocolo dirigida al investigador principal de fecha 06 de marzo de 2018..

ARTICULO 2°.- El estudio clínico autorizado por el artículo 1° se llevará a cabo en el centro, a cargo del investigador principal y con el/los modelos/s de consentimiento/s, aprobados por el Comité de Ética en Investigación, que se detallan a continuación:

| Información del investigador, del centro de investigación, del Comité de Ética en Investigación (CEI) y del consentimiento informado | |
|--|---|
| Nombre del investigador | Alberto Dubrovsky |
| Nombre del centro | Instituto Centenario Salud y Calidad de Vida |
| Dirección del centro | Av. Rivadavia 3855, 2° Piso, C1204AAD Ciudad Autónoma de Buenos Aires |
| Teléfono/Fax | (011) 4981-0256 |
| Correo electrónico | aldubro@gmail.com |
| Nombre del CEI | Comité Independiente de Ética para Ensayos en Farmacología Clínica Fundación de Estudios Farmacológicos y de Medicamentos "Prof. Luis M. Zieher" |
| Dirección del CEI | Uriburu 774, Piso 1 (C1027AAP), CABA |
| N° de versión y fecha del consentimiento | Formulario de Asentimiento para niños entre 7 y 12 años de edad, Versión 1.1, Final, 09 de Octubre de 2017: V 1.1 (09/10/2017) Formulario de consentimiento para niños de 13 a 15 años de edad, Versión 1.2, Final, 09 de Octubre de 2017: V 1.2 (09/10/2017) Formulario de consentimiento informado para pacientes de 16 a 17 años de edad, Versión 1.2, Final, 09 de Octubre de 2017: V 1.2 (09/10/2017) Formulario de consentimiento/asentimiento informado para Padres/Tutores, Versión 1.2, Final, 09 de Octubre de 2017: V 1.2 (09/10/2017) Formulario de consentimiento informado para Pacientes adultos, Versión 1.2, Final, 09 de Octubre de 2017: V 1.2 (09/10/2017) Formulario de consentimiento informado para la pareja embarazada para Argentina, Versión 1.0, Final, 6 de marzo de 2018 Dr. Alberto Dubrovsky, Instituto Centenario: V 1.0 (06/03/2018) |

ARTICULO 3°.- Autorízase el ingreso de:

a) Medicación:

| INGRESO DE MEDICACIÓN | | | | | | |
|--|-------------------------------|------------|---------------------------------|---------------------------------|--|---|
| Principio activo, concentración y presentación | Forma farmacéutica | Unidad | Cantidad administrada por dosis | Numero total dosis por paciente | DISPOSICION N°: 4087 Cantidad Total de kits y/o envases | Presentación |
| Ataluren 250 mg o placebo | gránulos para suspensión oral | miligramos | 6.00 | 18 | 216 kits con 91 sachets de ataluren 250 mg o placebo | kit con 91 sachets conteniendo Ataluren 125 mg o placebo |
| Ataluren 1000 mg o placebo | gránulos para suspensión oral | miligramos | 1.00 | 6 | 24 kits con 91 sachets de ataluren 1000 mg o placebo | kit con 91 sachets conteniendo ataluren 1000 mg o placebo |
| Ataluren 125 mg | gránulos para suspensión oral | miligramos | 3.00 | 6 | 72 kits con 91 sachets de ataluren 125 mg | Kit con 91 sachets conteniendo ataluren 125 mg |
| Ataluren 250 mg | gránulos para suspensión oral | miligramos | 6.00 | 18 | 216 kits con 91 sachets de Ataluren 250 mg | Kit con 91 sachets conteniendo Ataluren 250 mg |
| Ataluren 1000 mg | gránulos para suspensión oral | miligramos | 2.00 | 3 | 24 kits con 91 sachets de ataluren 1000 mg | Kit con 91 sachets conteniendo Ataluren 1000 mg |
| Ataluren 125 mg o placebo | gránulos para suspensión oral | miligramos | 3.00 | 6 | 72 kits con 91 sachets de ataluren 125 mg o placebo | kit con 91 sachets conteniendo ataluren 125 mg o placebo |

b) Materiales:

| MATERIALES PARA IMPORTAR | |
|---|----------|
| Detalle | Importar |
| Contenedores ambiente 5 por pack (Ambient shipper 5/pack) | 1 |
| Combo contenedores con packs refrigerantes (combo shipper (4-pack) w/refrigerant pack | 5 |
| Contenedores Medium Frozen (Medium frozen shippers) | 2 |
| Guías aéreas pre impresas (ambiente/refrigerado) - Pre-Printed MRL Airway bills (Ambient-Frozen) | 20 |
| Guías aéreas pre impresas (congelados) - Pre-printed MRL airway bills (frozen) | 2 |
| Etiquetas entrega sábado/riesgo biológico/hielo seco (Saturday Delivery/Biohazard/Dry ice labels /UN3373) | 10 |
| Bolsa 95 Kpa (95Kpa Bags) | 10 |
| Bolsas adhesivas (Adhesive pouches) | 10 |
| FedEx Clinpacks | 5 |
| Frascos para recolección de orina con tapa 20 por tubo (Urine Collection cups w/lids) | 1 |
| Agujas butterfly 23 G - 50 unidades por caja | 1 |
| carpetas de solicitud específicas (subject specific requisition binders) | 4 |
| Carta Intro, Memo cut off courier (Intro letter, Courier Cut-Off Memo) | 1 |
| Manual de laboratorio | 1 |
| Tabla de referencia rápida (Quick Reference Chart) | 1 |

| | |
|--|----|
| Dinamometro para fuerza muscular (MICROFET 2 MUSCLE TESTER) | 2 |
| Cronómetro (STOPWATCH WTR/SHOCK RES BAT) | 4 |
| Monitor para presión arterial (OMRON 907XL BLOOD PRESSURE MONITOR UNIT) | 2 |
| Brazalete standard (STANDARD BP CUFF) | 2 |
| Brazalete chico (SMALL BP CUFF) | 2 |
| Espirómetro Portátil (Portable Spirometer) | 2 |
| Papel térmico para impresión. 5 rollos por paquete (Thermal Printer Paper) | 2 |
| Jeringa de Calibración (Syringe 3 liter manual calibration) | 2 |
| Adaptador para jeringa de calibración (MM-ADAPTER HANDICHPUMPE -Calibration syringe adapter) | 2 |
| Kit de filtro MicroGard caja por 80 unidades | 2 |
| Boquilla acopladora de caucho 2.50 LG (Rubber coupler mouthpiece 2.50 LG) | 10 |
| Cono de seguridad (professional quality non reflective safety cone) | 6 |
| Cinta métrica | 2 |
| Cinta de vinilo 3M de 2 pulgadas por 50 yardas, 6.3 Mil (3M Venyl Duct Tape) | 2 |
| Tablero clip porta papeles (Clipboard) | 2 |
| Cámara fotográfica digital | 2 |
| Trípode con bolsa (Lightweight tripod with bag) | 2 |
| SanDisk Flash - Tarjeta de memoria de 16 GB | 2 |
| Banco escalador con Plataforma ajustable 4, 6 y 8 (Aerobic stairs stepper adjust 4- 6- 8) | 2 |
| Bolsas de lona y polièster (tote bags) | 6 |
| Cradle de calibración (Calibration cradle) | 1 |
| Segmómetro (Segmometer) | 2 |
| varilla de calibración del segmómetro (Segmometer Calibration Rod) | 2 |
| Micro RPM | 2 |
| Clips nasales 200 unidades por paquete (Nose Clips) | 1 |
| Filtro bacterial -Carefusion -36- FIL6050A válvula de 1 vía con adaptador 50 unidades por paquete (Bacterial Filter-Carefusion - 36-FIL6050A 1 way valve with adaptor) | 2 |
| Bloque de calibración de madera para Micro FET2 (Wood calibration Block for Micro FET2) | 2 |
| Bloque de calibración para pinza (5 pasos) -Calibration block for caliper (5 steps) | 2 |
| Medidor de presión respiratoria MicroRPM (MicroRPM respiratory pressure meter) | 2 |
| Imanes de dosificación (Dosing magnets) | 4 |
| BAC/Viral filtros 50 unidades por paquete (BAC/Viral filter 50 pk) | 2 |
| Carpetas (binders) con documentación | 5 |
| Kits de laboratorio | 38 |

El ingreso de la medicación y materiales detallados en el presente artículo se realiza al sólo efecto de la investigación que se autoriza en el Artículo 1° quedando prohibido dar otro destino a la misma, bajo penalidad establecida por la Disposición ANMAT N° 6677/10.

ARTICULO 4°.- Autorízase el envío de muestras biológicas de acuerdo al siguiente detalle:

| MUESTRAS BIOLÓGICAS | | | |
|---------------------|---|-----------|----------------|
| Tipo de Muestra | Destino | Origen | País |
| sangre entera | Medpace Reference Laboratories, 5365 Medpace Way Cincinnati, OH 45227; USA, Tel: 001-513-366-3270 Ext.: 11279 | Argentina | Estados Unidos |
| Plasma | Medpace Reference Laboratories, 5365 Medpace Way Cincinnati, OH 45227, USA Tel: 001-513-366-3270 Ext.: 11279 | Argentina | Estados Unidos |
| | Medpace Reference Laboratories, 5365 Medpace Way Cincinnati, OH | | Estados |

| | | | |
|-------|---|-----------|----------------|
| Suero | 45227,USA, Tel: 513-366-3270 Ext.11279 | Argentina | Unidos |
| orina | Medpace Reference Laboratories, 5365 Medpace Way, Cincinnati, OH 45227,USA, Tel: 513-366-3270 Ext.11279 | Argentina | Estados Unidos |

DISPOSICION N°: 4087

A los fines establecidos en el presente artículo deberá recabar el solicitante la previa intervención del Servicio de Comercio Exterior de esta Administración Nacional.

ARTICULO 5°.- Los envíos autorizados en el artículo precedente deberán efectuarse bajo el estricto cumplimiento de las normas IATA correspondientes, asumiendo el solicitante las responsabilidades emergentes de los posibles daños que pudieran caer por dicho transporte.

ARTICULO 6°.- Notifíquese al interesado que los informes parciales y finales deberán ser elevados a la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, en las fechas que se establezcan al efecto, para su evaluación y conclusiones finales por parte de los funcionarios que serán designados a tal efecto. En caso contrario los responsables se harán pasibles de las sanciones pertinentes que marca la Ley N° 16.463 y la Disposición ANMAT N° 6677/10.

ARTICULO 7°.- Establécese que de acuerdo a lo dispuesto en el punto 3.11, Sección C, Anexo de la Disposición ANMAT N° 6677/10, la firma MEDPACE ARGENTINA S.R.L., quien conducirá el ensayo clínico en la República Argentina, quedará sujeta a la citada normativa, asumiendo todas las responsabilidades que corresponden al patrocinador en materia administrativa, contravencional y civil no pudiendo eximirse de las mencionadas responsabilidades ni aun en el supuesto de haber transferido total o parcialmente la realización de las funciones que le corresponden en tal carácter.

ARTICULO 8.- Establécese la obligación por parte del Patrocinador y del Investigador Principal de cumplir con la Carta de clarificación al protocolo dirigida al Investigador Principal, de fecha 06 de Marzo de 2018 que, además de aportar aclaraciones sobre los criterios de inclusión 4 y 10 y sobre un error tipográfico del protocolo, impone la realización de una interconsulta con un especialista para aquellos pacientes que durante el estudio presenten elevación persistente de la presión arterial.

ARTÍCULO 9.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N°: 1-0047-0002-000233-18-1.