

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

BUENOS AIRES, **04 DE AGOSTO DE 2014.-**

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000006-14-9, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Shire Human Genetic Therapies, S.A., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: UN ESTUDIO ALEATORIZADO, CONTROLADO, DE ETIQUETA ABIERTA, MULTICÉNTRICO, FASE IIB, DE SEGURIDAD Y EFICACIA DE LA ADMINISTRACIÓN DE HGT-1410 (HEPARAN N SULFATASA HUMANA RECOMBINANTE) A TRAVÉS DE UN DISPOSITIVO INTRATECAL PARA LIBERACIÓN DEL MEDICAMENTO EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD DE MUCOPOLISACARIDOSIS DE TIPO IIIA EN ETAPA TEMPRANA HGT-SAN-093. Protocolo versión de fecha 27 de agosto de 2013.

Que la firma Shire Human Genetic Therapies, S.A., ha contratado a PPD ARGENTINA SA como CRO, delegándole algunas funciones para la conducción del aludido ensayo clínico.

Que por ello, le son aplicables los puntos 3.9 y 3.10 de la Sección C del Anexo I de la Disposición ANMAT N° 6677/10 que respectivamente establecen: "El patrocinador podrá transferir algunas o todas sus funciones relacionadas con el estudio a una organización de investigación por contrato (OIC), siempre y cuando ésta se encuentre legalmente constituida en el país, y sin perjuicio de la responsabilidad legal que compete al patrocinador por el cuidado de los

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

participantes y la integridad de los datos”, y “Las tareas y funciones transferidas y asumidas por la OIC deben ser establecidas en un acuerdo escrito y firmado por las partes. Las funciones no especificadas en el acuerdo deberán ser ejercidas por el patrocinador. La OIC debe cumplir con todas las obligaciones establecidas en esta normativa para el patrocinador”.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria y materiales y enviar material biológico a USA.

Que el protocolo y el modelo de consentimiento informado para el paciente, han sido aprobados por el Comité de Ética detallado en el Anexo I de la presente Disposición.

Que asimismo el presente protocolo de investigación clínica fue autorizado por la Autoridad Máxima del centro donde se llevará a cabo, adjuntándose la nota compromiso del investigador y su equipo en el centro propuesto, juntamente con sus antecedentes profesionales.

Que el informe técnico del Departamento de Evaluación de Medicamentos, INAME, (obrante en el adjunto del 02 de junio de 2014), resulta favorable.

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

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

Que se aconseja acceder a lo solicitado por haberse cumplimentado lo establecido en la Disposición N° 6677/10, 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° 1271/13

Por ello;

EL ADMINISTRADOR NACIONAL DE LA ADMINISTRACION NACIONAL
DE MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma Shire Human Genetic Therapies, S.A., a realizar el estudio clínico denominado: UN ESTUDIO ALEATORIZADO, CONTROLADO, DE ETIQUETA ABIERTA, MULTICÉNTRICO, FASE IIB, DE SEGURIDAD Y EFICACIA DE LA ADMINISTRACIÓN DE HGT-1410 (HEPARAN N SULFATASA HUMANA RECOMBINANTE) A TRAVÉS DE UN DISPOSITIVO INTRATECAL PARA LIBERACIÓN DEL MEDICAMENTO EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD DE MUCOPOLISACARIDOSIS DE TIPO IIIA EN ETAPA TEMPRANA HGT-SAN-093. Protocolo versión de fecha 27 de agosto de 2013, que se llevará a cabo en el centro y a cargo del investigador que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición.

ARTICULO 2º.- Apruébase el modelo de consentimiento informado: Formulario de Consentimiento Informado Versión 2.4 - 14Apr2014, (obrante en el documento

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

adjunto del 05/05/2014 05:29:16 P.M. - RESPUESTA DE OBJECION)

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de la medicación y materiales que se detallan en el Anexo I de la presente Disposición, al sólo efecto de la investigación que se autoriza en el Artículo 1º quedando prohibido dar otro destino a la misma, bajo penalidad establecida por la Disposición N° 6677/10.

ARTICULO 4º.- Autorízase el envío de muestras biológicas de acuerdo al detalle que obra en el Anexo I de la presente Disposición, a cuyos fines deberá recabar el solicitante la previa intervención del Servicio de Comercio Exterior de esta Administración Nacional.

ARTICULO 5º.- 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 haber por dicho transporte.

ARTICULO 6º.- 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 N° 6677/10.

ARTICULO 7º.- Establécese que de acuerdo a lo normado en el punto 3.10, Sección C, Anexo I de la Disposición ANMAT N° 6677/10, la firma PPD Argentina SA, en su

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

carácter de CRO contratada, quedará sujeta a la citada normativa, debiendo cumplir con todas las obligaciones establecidas en la misma para el patrocinador.

ARTICULO 8º.- Establécese que de acuerdo a lo dispuesto en el punto 3.9, Sección C, Anexo I de la Disposición ANMAT N° 6677/10, la firma Shire Human Genetic Therapies, S.A., en su calidad de patrocinador, conserva la responsabilidad legal que le compete por el cuidado de los participantes y la integridad de los datos.

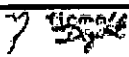
ARTICULO 9º.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N° 1-0047-0002-000006-14-9.

DISPOSICION N°



CHIALE Carlos Alberto
Administrador Nacional
ANMAT
Ministerio de Salud



DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

ANEXO I

- 1.- PATROCINANTE: Shire Human Genetic Therapies, S.A.
- 2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: UN ESTUDIO ALEATORIZADO, CONTROLADO, DE ETIQUETA ABIERTA, MULTICÉNTRICO, FASE IIB, DE SEGURIDAD Y EFICACIA DE LA ADMINISTRACIÓN DE HGT-1410 (HEPARAN N SULFATASA HUMANA RECOMBINANTE) A TRAVÉS DE UN DISPOSITIVO INTRATECAL PARA LIBERACIÓN DEL MEDICAMENTO EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD DE MUCOPOLISACARIDOSIS DE TIPO IIIA EN ETAPA TEMPRANA HGT-SAN-093. Protocolo versión de fecha 27 de agosto de 2013.
- 3.- FASE DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA: II/b.
- 4.- CENTROS PARTICIPANTES, INVESTIGADORES, COMITÉS DE ÉTICA Y CONSENTIMIENTOS INFORMADOS ESPECÍFICOS:

Información del investigador y del centro de investigación	
Nombre del investigador	Dr Hernán Amartino
Nombre del centro	Hospital Universitario Austral
Dirección del centro	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar, B1629ODT, Buenos Aires
Teléfono/Fax	(0230)4482831
Correo electrónico	Hernan.amartino@gmail.com
Nombre del CEI	Comité Institucional de Evaluación
Dirección del CEI	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar, B1629ODT, Buenos Aires

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

Droga del estudio	Forma Farmacéutica	Dosificación	Cantidad
Heparán N sulfatasa recombinante para administración intratecal	15 mg/mL (1.3 mL)	10 mg/mL (1mL) Dosis Mensual	216 viales humana

6.- INGRESO DE MATERIALES:

Detalle	Cantidades (unidades)
Kit de Visita de Escrutinio	6
Kit del Periodo de Implantación del Dispositivo médico (IDDD)	9
Kit de Semana 0/Pre- Tratamiento	24
Kit de Semana 2/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 4/ Inyección Intratecal	15
Kit de Semana 6/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 8/ Inyección Intratecal	15
Kit de Semana 10/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 12/ Inyección Intratecal	15
Kit de Semana 14/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 16/ Inyección Intratecal	12
Kit de Semana 18/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 20/ Inyección Intratecal	12
Kit de Semana 22/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 24/ Inyección Intratecal	15
Kit de Semana 26/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 28/ Inyección Intratecal	6
Kit de Semana 30/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 32/ Inyección Intratecal	6
Kit de Semana 34/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 36/ Inyección Intratecal	15
Kit de Semana 38/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 40/ Inyección Intratecal	6
Kit de Semana 42/ Inyección Intratecal	3

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

Kit de Semana 44/ Inyección Intratecal	6
Kit de Semana 46/ Inyección Intratecal	3
Kit de Semana 48/ Inyección Intratecal	21
Kit de Semana 52/ Final del Estudio	3
Kit de Muestra (Reprueba)	10

A) Otros Materiales

	Cantidades
Escala Bayle de desarrollo para infantes y menores, (BSID) 3ra Edición El Kit Incluye: Manual de Administración, Manual Técnico, Forma de registro del lenguaje cognitivo y motora. Paquete de 25 libros "Stimulus", Libro Fotográfico, Set de Manipulación del paciente, Cuestionario Social- Emocional y de Comportamiento Adaptativo Paquete de 25 Formas de reporte del Asistente del cuidado de la salud. Paquete de 25 Formas "Rolling" y DVD de Entrenamiento para Fundamentos de Administración. Componentes de Reabastecimiento de la escala BSID	1
Manual para Administración	15
Set de Manipulación del paciente	15
Formas de Registro adicional	25
La escala Vineland de Comportamiento Adaptativo (VABS II) 2a Edición Expanded Interview Starter Kit includes: 10 Expanded Interview Record Booklets, 10 Report to Parents, y 1 Manual Reabastecimiento de componentes del VABSII	1
Manual de Administración	1
Formas de Encuesta/Entrevista Expandida.	25
SOPH-A-PORT® Puerto implantable mini s, espinal, mini conjunto- Code 9018.321000	10
Catéter Neuro Phoenix desechable de 30 cm, con funda. Código 9018.321000	10
Kit con 2 viales de solución salina, 7 jeringas, 1 tapa de seguridad, 19 agujas, 1 filtro de 33mm (PVDF), 1 conector estéril (clave) y 1 asidera/agarradera.	216
Cuestionario de la calidad de vida del infante.(Argentina)	1
Escala de Calificación del comportamiento Sanfilippo	1
Cuestionario de los hábitos de sueño del niño.	1

DISPOSICIÓN N° 5578



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.T.

7.-ENVÍO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Tipo de Muestras	Dirección del Laboratorio/Repositorio de Muestras
Kit de Pruebas Genéticas Tubos EDTA para estudios DNA	Greenwood Genetic Center, 106 Gregor Mendel Circle, Greenwood, SC 29646, USA.
Sanguínea, Orina y Fluido Cerebro Espinal (FCE).	Covance, Central Laboratory Services 8211 SciCor Drive Indianapolis, IN 46214 USA

Expediente N° 1-0047-0002-000006-14-9.

DISPOSICION N°