



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
Las Malvinas son argentinas

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001119-22-5.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001119-22-5, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Denali Therapeutics Inc., representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: DNLI-E-0007: Estudio de fase 2/3, multicéntrico, doble ciego, aleatorizado para determinar la eficacia y la seguridad de DNL310 frente a idursulfasa en participantes pediátricos con mucopolisacaridosis neuronopática o no neuronopática de tipo II, Protocolo DNLI-E-0007 V 3 del 28/01/2022 Carta Compromiso para Centros ubicados en Argentina, versión 1.0, 11 Oct 2022, Uso de muestras para investigaciones futuras Producto en investigación: DNL310 (Terapia de reemplazo enzimático).

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 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 sus modificatorios.

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1°.- Autorízase a la firma Denali Therapeutics Inc. representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: DNLI-E-0007: Estudio de fase 2/3, multicéntrico, doble ciego, aleatorizado para determinar la eficacia y la seguridad de DNL310 frente a idursulfasa en participantes pediátricos con mucopolisacaridosis neuronopática o no neuronopática de tipo II, Protocolo V 3 del 28/01/2022 Carta Compromiso para Centros ubicados en Argentina, versión 1.0, 11 Oct 2022, Uso de muestras para investigaciones futuras Producto en investigación: DNL310 (Terapia de reemplazo enzimático).

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	del Javier Antonio Muntadas Rausei
Nombre del centro	Hospital Italiano de Buenos Aires
Dirección del centro	Juan Domingo Perón 4190, Ciudad Autónoma de Buenos Aires (1199)
Teléfono/Fax	(011) 4959-0200 int 9339/4479
Correo electrónico	javier.muntadas@hospitalitaliano.org.ar
Nombre del CEI	Comité de Ética de Protocolos de Investigación
Dirección del CEI	Tte Gral Juan Domingo Perón 4191, Ciudad Autónoma de Buenos Aires (1199)

N° de versión y fecha del consentimiento	DNLI-E-0007_FCI para la pareja embarazada en español para Argentina Dr. Muntadas_Centro 9002: V 2.0.0 CA1 (01/04/2022)
	DNLI-E-0007_Asentimiento para pacientes de 6 a 12 años en español para Argentina específico Dr. Muntadas_Centro 9002: V 2.0.1 (26/04/2022)
	DNLI-E-0007_Formulario de Consentimiento Informado para pacientes de 13 a 17 años en español para Argentina específico Dr. Muntadas_Centro 9002: V 2.3.1 (05/12/2022)
	DNLI-E-0007_Formulario de Consentimiento Informado para adultos en español para Argentina específico Dr. Muntadas_Centro 9002: V 2.3.1 (05/12/2022)
	DNLI-E-0007_Formulario de Consentimiento Informado para padres tutor niños menores de 13 años en español para Argentina específico Dr. Muntadas_Centro 9002: V 2.3.1 (05/12/2022)

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	Cantidad Total de kits y/o envases	Presentación
Elaprase (Idursulfasa)	Inyeccion para dilucion para administracion intravenosa: 2 mg/ml en un vial de 3ml de único uso	miligramos	0,5 mg/kg de peso del sujeto	96	8424	Inyeccion: 6 mg/3 mL (2 mg/mL) en un vial de unico uso
DNL310	Polvo liofilizado en un vial de vidrio para reconstitucion y administracion intravenosa	miligramos	15 mg/kg de peso del sujeto	96	10108	Polvo liofilizado en un vial de vidrio de 150 mg para reconstitucion a un volumen de 5 ml (30 mg/ml) y dilución en bolsa i.v. para

						administracion intravenosa
--	--	--	--	--	--	-------------------------------

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Smartphones + accesorios	50
SooPii Premium 6-Port Charging Station and Cables	18
Pearson Kit	6
Tablet + accesorios	6
T.O.V.A. 9 Kit	6
Laptop + accesorios	6
ECG + accesorios	6
Electrodes	1800
SDHC Card	6
ECG paper	25
Flashcard Reader	6
Ethernet Cable	6
Patient Cable	6

Power Cord	6
Reference Materials	6
Patient Cable Connector	6
Phone Cord	6
Spirometer with accessories	12
Bulk Supplies	5000
Promotional Material	5000
Pregnancy test	65
Centrifuge + accesories	6
Swing Out Bucket Rotor	6
Adapter	54
Aerosol Caps	6
Langland Retention Items Kit	5000
Pipette	6
Pipette tip	6

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
Muestras biológicas	Laboratorio central: LabConnect: 2304 Silverdale Dr Ste. 100. Johnson City, TN 37601	Argentina	Estados Unidos
Muestras genéticas	Laboratorio de análisis genéticos: PreventionGenetics Diagnostic Lab: 3800 South Business Park Avenue. Marshfield, WI 54449	Argentina	Estados Unidos

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 PPD ARGENTINA S.A., 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 Compromiso versión 1.0 con fecha 11 de Octubre de 2022 donde se establece que el centro contará con el personal multidisciplinario delegado, capacitado y entrenado requerido para los procedimientos y evaluaciones del ensayo clínico: anestesista pediátrico para el caso de anestesia general, hematólogo para el manejo del riesgo de sangrado en punción lumbar, cardiólogo, neumólogo, técnico en imágenes, dermatólogo, otorrinolaringólogo. Se aclara que los citados especialistas se enumeran a modo de ejemplo, entendiéndose que se requerirá entrenamiento y delegación de cualquier otro especialista que realice un proceso requerido por protocolo.

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001119-22-5.

