



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
2020 - Año del General Manuel Belgrano

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-000615-20-8.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000615-20-8, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Amicus Therapeutics, Inc., representado en Argentina por MEDPACE ARGENTINA S.R.L., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Un estudio abierto, de extensión, de Fase 3 para evaluar la seguridad y la eficacia a largo plazo de ATB200 intravenoso administrado concomitantemente con AT2221 oral en sujetos adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío, Protocolo ATB200-07 V Protocolo Original del 25/03/2019 Producto en investigación: AT2221, se trata de un chaperón farmacológico que estabiliza a la enzima recombinante humana alglucosidasa alfa (rhGAA) de próxima generación (ATB200) .

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 Amicus Therapeutics, Inc. representado en Argentina por MEDPACE ARGENTINA S.R.L.. a realizar el estudio clínico denominado: Un estudio abierto, de extensión, de Fase 3 para evaluar la seguridad y la eficacia a largo plazo de ATB200 intravenoso administrado concomitantemente con AT2221 oral en sujetos adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío, Protocolo V Protocolo Original del 25/03/2019 Producto en investigación: AT2221, se trata de un chaperón farmacológico que estabiliza a la enzima recombinante humana alglucosidasa alfa (rhGAA) de próxima generación (ATB200).

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	Hernán Mariano Amartino
Nombre del centro	Hospital Universitario Austral
Dirección del centro	Av. Juan Domingo Perón 1500 (B1629ODT)
Teléfono/Fax	(0230) 448-2000
Correo electrónico	hernan.amartino@gmail.com
Nombre del CEI	Comité Institucional de Evaluación (CIE) de la Facultad de Ciencias Biomédicas de la Universidad Austral
Dirección del CEI	Av. Juan Domingo Perón 1500, Pilar (B1629ODT), Buenos Aires

N° de versión y fecha del consentimiento	Formulario de Consentimiento Informado Principal – Argentina – versión 1.0 (Final) – 17 Dic 2019: V 1.0 (17/12/2019)
	Formulario de Consentimiento Informado para Investigación Futura – Argentina – versión 1.1 (Final) – 22 de Enero de 2020: V 1.1 (22/01/2020)

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
ATB200 105 mg por vial	Polvo liofilizado para reconstitución	miligramos	1600 mg	104	550	Kits conteniendo cada uno 4 viales
AT2221 (miglustat) 65 mg	Cápsulas	miligramos	260 mg	104	24	Frascos conteniendo cada uno 26 cápsulas

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Manual de laboratorio	2
Kit Kaddy	4
Kit de formulario de re-solicitud suministro	50
Prueba de embarazo en orina	140

Pipeta	160
Vaso de recolección de orina	120
Caja de almacenamiento de alícuota	10
Contenedor para envío a temperatura ambiente	120
Refrigerante pequeño	20
Guía aérea	120
Bolsa (plástica)	400
Contenedor UN3373	80
Factura de aduana	80
Formulario de pedido de 2 partes	160
Formulario de pedido de 3 partes	160
Set de etiquetas	200
Portapapeles	8
Cinta de color	4
Cinta de medición métrica	4
Cono de tráfico	6
Cronómetro	6

Barómetro digital	6
Medidor de músculo Microfet 2	4
Bloque de madera de calibración para MicroFET2	2
Pesa de calibración	2
Tableta (tablet) para registros del estudio (contiene accesorios para el normal funcionamiento)	4
Funda de iPad	4
Tripode	4
Kit adaptador de viaje mundial	4
Cable Ethernet	4
MasterScope CT V2 con ECG integrado (contiene accesorios para el normal funcionamiento)	2
Manual del usuario para MasterScope CT V2	2
Guía resumida para MasterScope CT V2	2
Kit de inicio de consumibles para MasterScope CT	4
Filterbox Micro RPM	150
Sondas nasales pequeñas	80
Sondas nasales medianas	80
Sondas nasales grandes	80

Adaptador de sonda nasal	100
Conjunto de válvulas de presión inspiratoria	70
Válvula de presión expiratoria para MicroRPM	70
Boquillas	170
Filtros descartables	700
Electrodos para ECG	1000
Codo de plástico para MasterScope	80
Almohadillas de clip de nariz	400
Cartucho de tinta	12
Bateria alcalina PP3 9V	12
Docking Station	2
Escaleras de rehabilitación de 2 alas	2
Documentos y formularios impresos	20
Carpetas con documentación impresa del estudio	20
Kits de laboratorio	300

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, plasma, suero, orina	ACM Medical Laboratory, 150 Elmgrove Park, Rochester, NY 14624	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 haberse producido 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.

ARTÍCULO 8.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N°: 1-0047-0002-000615-20-8.