



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

BUENOS AIRES, **20 DE NOVIEMBRE DE 2015.-**

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000075-15-9, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

### CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Quintiles Argentina S.A., en representación de Amicus Therapeutics, Inc., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Estudio de extensión a etiqueta abierta para evaluar la seguridad y eficacia a largo plazo del clorhidrato de migalastat en monoterapia en sujetos con enfermedad de Fabry (AT1001-042). Protocolo Versión de fecha 10 de Junio de 2014.

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

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.



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

Que el informe técnico de la Dirección de Evaluación y Registro de Medicamentos, (DERM-INAME), (obrando en el adjunto del 2 de Octubre de 2015), 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 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 de Decretos números 1886/14 y 1368/15.

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma Quintiles Argentina S.A., en representación de Amicus Therapeutics, Inc., a realizar el estudio clínico denominado: Estudio de extensión a etiqueta abierta para evaluar la seguridad y eficacia a largo plazo del clorhidrato de migalastat en monoterapia en sujetos con enfermedad de Fabry (AT1001-042). Protocolo Versión de fecha 10 de Junio de 2014, que se llevará a



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

caño 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: Información para el Paciente y Formulario de Consentimiento Informado versión 3.2 de fecha 10 de Agosto 2015 en versión limpia sellado por el CIE de la Facultad de Ciencias Biomédicas de la Universidad Austral, (obrante en el adjunto 17/09/2015 04:47:49 P.M. - RESPUESTA DE OBJECION.PDF).

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de la medicación que se detalla 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 caer por dicho transporte.



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

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 dispuesto en el punto 3.11, Sección C, Anexo I de la Disposición ANMAT n° 6677/10, la firma Quintiles 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 habertransferido total o parcialmente la realización de las funciones que le corresponden en tal carácter.

ARTICULO 8º.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N° 1-0047-0002-000075-15-9.

DISPOSICION N°



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

### ANEXO I

1.- PATROCINANTE: Quintiles Argentina S.A., en representación de Amicus Therapeutics, Inc.

2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: Estudio de extensión a etiqueta abierta para evaluar la seguridad y eficacia a largo plazo del clorhidrato de migalastat en monoterapia en sujetos con enfermedad de Fabry (AT1001-042). Protocolo Versión de fecha 10 de Junio de 2014.

3.- FASE DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA: III.

4.- CENTROS PARTICIPANTES, INVESTIGADORES, COMITÉS DE ÉTICA Y CONSENTIMIENTOS INFORMADOS ESPECÍFICOS:

Información del investigador y del centro de investigación	
Nombre del investigador	Hernán Mariano Amartino
Nombre del centro	Hospital Universitario Austral
Dirección del centro	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar (B1629ODT), Bs. As., Argentina.
Teléfono/Fax	(0230) 448-2624
Correo electrónico	hernan.amartino@gmail.com



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

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, Derqui, Pilar B1629ODT, Bs. As., Argentina

### 5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

- 72 blisters conteniendo 14 cápsulas de Migalastat HCl 150mg y 14 cápsulas de Recordatorio Inactivo

### 6.- INGRESO DE MATERIALES:

-40 kits de Laboratorio  
-20 recipientes para recolección de orina  
-20 recipientes estériles para recolección de muestras

### 7.- ENVIO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Muestras de orina, PBMC, plasma, suero y sangre entera serán exportadas a:

Quintiles Laboratories, Ltd.  
1600 Terrell Mill Road, SE Suite 100 Marietta, GA, 30067-8340, USA

Quintiles Laboratories Europe  
Alba Campus, Rosebank Livingston, West Lothian Scotland, EH54 7EG UK

Celerion INC, USA  
624 Peach Street Lincoln, NE 68502 USA

Amicus Therapeutics, USA  
1 Cedarbrook Dr Cranbury, NJ 08810 USA

Biostorage Technologies, Inc.



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

## DISPOSICIÓN N° 9905

"2015 - El Año del Bicentenario del Congreso de los Pueblos Libres"

Receiving Department 2910 Fortune Circle West, Suite E Indianapolis, IN 46241  
USA.

Expediente N° 1-0047-0002-000075-15-9.

DISPOSICION N°



LOPEZ Rogelio Fernando  
DU 8619239  
Administrador Nacional  
A.N.M.A.T.  
Ministerio de Salud