



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.7.

2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

DISPOSICIÓN N° 1 8 0 9

BUENOS AIRES, 21 ABR 2010

VISTO el Expediente N° 1-0047-0000-18308-09-4 del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma GENZYME DE ARGENTINA SA en representación de GENZYME CORPORATION, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Un estudio abierto, de fase 3, multicéntrico, multinacional, con asignación aleatoria y comparador activo para evaluar la seguridad y eficacia de Genz-112638 en pacientes con Enfermedad de Gaucher de tipo 1 que han sido estabilizados con Cerezyme. GZGDO2607 del 22 de mayo de 2009, Enmienda 2 5/10/2009.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la medicación, materiales y documentación así como enviar material biológico a Estados Unidos y Canada.

Que el transporte de muestras deberá cumplir con las normas de Bioseguridad Res Ministerial N° 393/94 y el de envío de muestras biológicas deberá efectuarse bajo el estricto cumplimiento de las normas IATA correspondientes.

Que el protocolo y el los modelo de consentimiento informado para el paciente han sido aprobados por los Comité de Docencia e Investigación en su versión Argentina final 2 del 23/10/2009, Comité de Biética Hospital General de Niños Dr. Ricardo Gutierrez, Subcomité de Investigación 23/9/2009.



Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.7.

2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

DISPOSICIÓN N° 1809

Que asimismo el presente protocolo de investigación clínica fue autorizado por el Comité de Docencia e Investigación de los centros donde se llevará a cabo, adjuntándose las declaraciones juradas y el consentimiento de adhesión al protocolo de los profesionales responsables en cada uno de los centros propuestos, juntamente con sus antecedentes profesionales.

Que a fojas 719 a 731, obra el informe técnico favorable de la Dirección de Evaluación de Medicamentos.

Que se aconseja acceder a lo solicitado por haberse cumplimentado lo establecido en la Disposición N° 5330/97, que aprueban el Régimen de Buenas Prácticas de Investigación en Estudios de Farmacología Clínica.

Que se actúa en virtud a las facultades conferidas por los Decretos Ns° 1490/92 y 425/10.

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1°.- Autorízase a la firma GENZYME DE ARGENTINA SA en representación de GENZYME CORPORATION a realizar el estudio clínico denominado: Un estudio abierto, de fase 3, multicéntrico, multinacional, con asignación aleatoria y comparador activo para evaluar la seguridad y eficacia de Genz-112638 en pacientes con Enfermedad de Gaucher de



2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

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

DISPOSICIÓN Nº **1809**

tipo 1 que han sido estabilizados con Cerezyme. GZGDO2607 del 22 de mayo de 2009, Enmienda 2 5/10/2009. del que se llevará a cabo en el o los centros y a cargo de los investigadores que se detallan en el Anexo I de la presente Disposición.

ARTICULO 2º.- Apruébase el modelo de consentimiento informado obrante fojas 105 a 126 Versión Argentina final 2 del 23/10/2009.

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de la medicación, documentación 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 Nº 5330/97.

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.

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 Nº 16.463 y la Disposición Nº 5330/97.



2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.7.

DISPOSICIÓN Nº 1809

ARTICULO 7º.- Regístrese; gírese al departamento de Registro a sus efectos, por el Departamento de Mesa de Entradas notifíquese al interesado y hágase entrega de la copia autenticada de la presente Disposición. Cumplido, archívese PERMANENTE.

Expediente Nº 1-0047-0000-18308-09-4

DISPOSICION Nº

CG

1809


DR. CARLOS CHIALE
INTERVENTOR
A.N.M.A.7.

GA

R



*Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.7.*

2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

1809

ANEXO I

1.- PATROCINANTE: GENZYME DE ARGENTINA SA en representación de GENZYME CORPORATION.

2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO Un estudio abierto, de fase 3, multicéntrico, multinacional, con asignación aleatoria y comparador activo para evaluar la seguridad y eficacia de Genz-112638 en pacientes con Enfermedad de Gaucher de tipo 1 que han sido estabilizados con Cerezyme. GZGDO2607 del 22 de mayo de 2009, Enmienda 2 5/10/2009.

3.- FASE DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA:III.

4.- CENTROS PARTICIPANTES E INVESTIGADORES.

Hospital General de Niños Dr. Ricardo Gutierrez Ciudad Autónoma de Buenos Aires . Dr. Guillermo Isaias Drelichman .

5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

Período de tratamiento: 02 años ó 104 semanas ó 728 días

Distribución aleatoria al tratamiento: 2:1 (Genz-112638:Cerezyme):

Peso de los pacientes (promedio): 70 kg

Genz-112638

Cantidad estimada para pacientes que reciban 100 mg: 100 mg dos veces por día = 2 cápsulas de 100 mg/día

Período de ajuste de dosis (50 mg):

2 cápsulas/día x 28 días = 56 cápsulas = 01 frasco de Genz-112638 50 mg (60 cápsulas /

frasco)



2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

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

1 3 0 0

Período de tratamiento (100 mg):

2 cápsulas/día x 700 días = 1.400 cápsulas = 24 frascos of Genz-112638 100 mg (60 cápsulas/frasco) por paciente.

Cantidad estimada para pacientes que reciban 150 mg: 150 mg dos veces por día = 6 cápsulas de 50 mg/día

1° Período de ajuste (50 mg):

2 cápsulas/día x 28 días = 56 cápsulas = 01 frasco de Genz-112638 50 mg (60 cápsulas / frasco).

2° Período de ajuste (100 mg):

2 cápsulas/día x 28 días = 56 cápsulas = 01 frasco de Genz-112638 100 mg (60 cápsulas / frasco).

3° Período de tratamiento (150 mg):

6 cápsulas/día x 672 días = 4.032 cápsulas = 68 frascos de Genz-112638 50 mg (60 cápsulas / frasco) por paciente

Cerezyme

Dosis máxima: 65 U x 70 kg = 4550 U por infusión/paciente

Cerezyme 200 U viales

4550 U = 23 viales de 200 U/infusión

23 viales de 200 U x 20 infusiones = 460 viales de Cerezyme 200 U/paciente

Cerezyme 400 U viales

4550 U = 12 viales de 400 U/infusión



2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

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

1809

12 viales de 400 U x 20 infusiones = 240 viales de Cerezyme 200 U/paciente

Después de 52 semanas, los sujetos recibirán tratamiento con Genz-112638, con ajuste de dosis de ser necesario:

Cantidad estimada para pacientes que reciban 100 mg: 100 mg dos veces por día = 2 cápsulas de 100 mg/día

Período de ajuste de dosis (50 mg):

2 cápsulas/día x 28 días = 56 cápsulas = 01 frasco de Genz-112638 50 mg (60 cápsulas/frasco)

Tratamiento (100 mg):

2 cápsulas/día x 427 días = 854 cápsulas = 15 frascos de Genz-112638 100 mg (60 cápsulas/frasco) por paciente

Cantidad estimada para pacientes que reciban 150 mg: 150 mg dos veces por día = 6 cápsulas de 50 mg/día

1° Período de ajuste (50 mg):

2 cápsulas/día x 28 días = 56 cápsulas = 01 frasco de Genz-112638 50 mg (60 cápsulas/frasco)

2° Período de ajuste (100 mg):

2 cápsulas/día x 28 días = 56 cápsulas = 01 frasco de Genz-112638 100 mg (60 cápsulas/frasco)

Tratamiento (150 mg):

6 cápsulas/día x 399 días = 2.394 cápsulas = 40 frascos de Genz-112638 50 mg (60 cápsulas/frasco) por paciente.

Cantidad solicitada para importar:



2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

*Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A. 7.*

1 2 0 9

1436 Cerezyme 200 U viales: (2 pacientes x 598 Cerezyme 200 U viales + 20 %)

749 Cerezyme 400 U viales (2 pacientes x 312 Cerezyme 400 U viales + 20 %)

Cantidad estimada para pacientes que reciban 100 mg: = rama de tratamiento Genz-112638 + rama de tratamiento con Cerezyme

116 frascos de Genz-112638 100 mg (4 pacientes x 24 frascos rama Genz-112638 dosis 100 mg+ 20 %)

32 frascos de Genz-112638 100 mg rama de tratamiento con Cerezyme (2 pacientes x 15 frascos rama de tratamiento Cerezyme/Genz-112638 dosis 100 mg+ 20 %)

Total: 148 frascos de Genz-112638 100 mg

327 frascos de Genz-112638 50 mg (4 pacientes x 68 frascos rama de tratamiento con Genz-112638 dosis 150 mg+ 20 %)

82 frascos de Genz-112638 50 mg (2 pacientes x 40 frascos rama de tratamiento con Cerezyme/Genz-112638 dosis 150 mg+ 20 %)

Total: 409 frascos de Genz-112638 50 mg

Materiales del estudio a importar:

1) Importación de materiales para laboratorio:

2400 KITS ESPECÍFICOS DE VISITA PARA LA RECOLECCIÓN Y

ACONDICIONAMIENTO DE MUESTRAS.

4800 TUBOS AL VACÍO CON GEL SEPARADOR

7200 TUBOS AL VACÍO CON EDTA

4800 TUBOS AL VACÍO CON HEPARINA

J G H



2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

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

1809

4800 TUBOS AL VACÍO CON CITRATO

2400 TUBOS PLÁSTICOS CON TAPA A ROSCA CON TABLETA CONSERVANTE
PARA EL TRANSPORTE DE ORINA

2400 TABLETAS CONSERVANTES PARA TRANSPORTE DE ORINA

9600 PIPETAS PLÁSTICAS DESCARTABLES PARA LA TRANSFERENCIA DE
SUERO/PLASMA/ORINA

24000 TUBOS PLÁSTICOS CON TAPA A ROSCA PARA TRANSPORTE DE
SUERO/PLASMA

4800 BOLSAS PORTA-TUBOS ABSORBENTES

4800 BOLSAS CON CIERRE HERMÉTICO PARA EL TRANSPORTE DE MUESTRAS

2400 AGUJAS

2400 FORMULARIOS

7200 ETIQUETAS AUTOADHESIVAS CON CÓDIGOS DE BARRA EXTRAS

4800 CAJAS DE TRANSPORTE PARA ESPECÍMENES DIAGNÓSTICOS Y

MATERIALES PARA ACONDICIONAR DICHAS MUESTRAS SEGÚN NORMAS IATA

240 CAJAS DE MATERIAL A GRANEL:

CONTIENE MATERIAL SUELTO, IDÉNTICO AL DESCRIPTO EN EL CONTENIDO DE
LOS KITS ESPECÍFICOS DE VISITA

2400 TESTS DE EMBARAZO EN ORINA

2400 FRASCOS PARA RECOLECCIÓN DE ORINA

6.- INGRESO DE DOCUMENTACIÓN:

[Handwritten signature]



*Ministerio de Salud
Secretaría de Políticas,
Regulación e Institutos
A.N.M.A.7.*

2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

1809

6.1.- 300 Cuestionarios de calidad de vida- Inventario breve del dolor (100) - Índice de severidad de la fatiga (100)- Encuesta sobre la salud – Formulario Corto (100)- Encuesta sobre opción de tratamiento (100)

6.2 .- DISPOSITIVOS MEDICOS:

6.3 .- Importación de equipos:

- 3 electrocardiógrafos modelo ELI150 Rx v1.3 ECG y accesorios

- 3 H12+ 24H v3.14 Digital Holter Recorder y accesorios.-

7.- ENVIO DE MATERIALES/

Materiales del estudio a exportar:

Muestras de laboratorio a ser enviadas al exterior:

Suero / Plasma a Quintiles Laboratories Atlanta:

1600 Terrell Mill Road, SE

Suite 100

Marietta, GA, 30067-8340, USA.

Suero / Plasma a ARUP:

ARUP Laboratories

General Accessioning Area

500 Chipeta Way

Salt Lake City, UT, 84108, USA

Sangre entera / Suero / Plasma a Genzyme Genetics:

1) Analytical Services



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

2010, Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo

1809

5300 McConnell Avenue

Los Angeles, USA

2) 2000 Vivigen Way

Santa Fe, 87505, USA

Sangre entera / Suero / Plasma a Genzyme Corporation:

Clinical Specialty Laboratory

One Mountain Road

Framingham

MA, 01701-9322, USA.

Plasma a Charles River Laboratories:

Preclinical Sample Management

87 Senneville Road

Senneville, Quebec, H9X 3R3, Canada.

Expediente N° 1-0047-0000-18308-09-4

DISPOSICION N°.

CG

1809


DR. CARLOS GHIALE
INTERVENTOR
A.N.M.A.T.

