



**República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional**  
2019 - Año de la Exportación

**Disposición**

**Número:**

**Referencia:** 1-0047-0002-000456-19-2.

---

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000456-19-2, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

**CONSIDERANDO:**

Que por las presentes actuaciones la firma Alnylam Pharmaceuticals, Inc., representado en Argentina por MEDPACE ARGENTINA S.R.L., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: HELIOS-A: Un estudio de Fase 3, global, aleatorizado, de etiqueta abierta para evaluar la eficacia y seguridad de ALN-TTRSC02 en pacientes con amiloidosis hereditaria por transtiretina (amiloidosis hATTR) , Protocolo V 0.3 Argentina del 19/06/2019 \_ .

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 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 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 Alnylam Pharmaceuticals, Inc. representado en Argentina por MEDPACE ARGENTINA S.R.L.. a realizar el estudio clínico denominado: HELIOS-A: Un estudio de Fase 3, global, aleatorizado, de etiqueta abierta para evaluar la eficacia y seguridad de ALN-TTRSC02 en pacientes con amiloidosis hereditaria por transtiretina (amiloidosis hATTR) , Protocolo V 0.3 Argentina del 19/06/2019 \_.

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	Fabio Adrian Barroso
Nombre del centro	FLENI (Fundación de la lucha contra las Enfermedades neurológicas de la Infancia)
Dirección del centro	Montañeses 2325
Teléfono/Fax	5777-3200
Correo electrónico	-----
Nombre del CEI	Comité de Ética e Investigación FLENI
Dirección del CEI	Calle: Montañeses Numero: 2325
N° de versión y fecha del consentimiento	Formulario de consentimiento informado para pacientes adultos para Argentina. Versión 3.0, Final 29 de Julio de 2019: V 3.0 ( 29/07/2019 )

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
ALN-TTRSC02	Solución inyectable (Uso subcutáneo)	miligramos	25	14	68	Caja con un vial de uso único que contiene 0,5 mL de ALN-TTRSC02 en la dosis de 50 mg/mL
Patisiran (ALN-TTR02)	Solución para inyección de uso intravenoso	miligramos	0,3	28	202	Caja con un vial de uso único que contiene 5,0 mL de Patisiran en la dosis de 2 mg/mL

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Kits de prueba de embarazo QuickVue (Pregnancy Test Kits QuickVue)	500

Documentacion (Manuales - Ingles)	5
Gel Pack-Ambient Shipper Gel Wrap White/Clear	100
Formularios de Solicitud de pedidos (Form-SUPPLY ORDER REQUEST)- 5 paquetes conteniendo 10 talonarios de formularios	5
Formularios de solicitud de cambio demografico (Form-DEMOGRAPHIC CHANGE)- 5 paquetes conteniendo 10 talonarios de formularios REQUEST)	5
Documentación Aduanera-COMERCIAL / PROFORMA FACTURAS	5
Hoja de contacto de mensajería-OCASA	5
Caja para envíos congelado - 5 libras. W / (1) + Bolsa de muestra Max / 25 muestras	25
Caja de envío congelado - 10 libras. W / (1) + Bolsa de muestra Max / 50 muestras	25
Guías Aereas OCASA - Ambiente / Refrigerado / Hielo seco (AWB-OCASA)	100
Maquina de ECG (ECG Machine)	1
Bombas de infusión	1
Catéter Intravenoso 18G (IV catheter 18G)	600
Set de extensión que contiene un filtro de infusión en línea PES de 1,2 micrones	300
Jeringas de 30 ml	168
Jeringas de 10 ml	300
Viales de vidrio estéril 20 mL	150
agujas 27G	300
agujas 18G	300
Jeringas de inyección de 1 ml (polipropileno) con una precisión de 0.01 DEHP	100
Filtros de 0,2 micras para jeringa	300
Filtros de 0,45 micras para jeringa	300
Martillo de percusión	2
Diapasón	2
Kits de laboratorio	546

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	PPD, Global Central Labs, 2 Tesseneer Drive, Highland Heights, KY 41076	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 haber 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°: 1-0047-0002-000456-19-2.