



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

DISPOSICIÓN Nº **0212**

BUENOS AIRES, **1-3 ENE 2012**

VISTO el Expediente Nº 1-0047-0000-005810-11-4, 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 para este estudio por Amicus Therapeutics, Inc. (EEUU), solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: "ESTUDIO RANDOMIZADO, ABIERTO, PARA COMPARAR LA EFICACIA Y LA SEGURIDAD DEL AT1001 Y LA TERAPIA DE REEMPLAZO ENZIMÁTICO (TRE) EN PACIENTES CON ENFERMEDAD DE FABRY Y MUTACIONES EN EL GLA QUE RESPONDEN AL AT1001, QUE PREVIAMENTE RECIBIERON TRATAMIENTO CON TRE". Protocolo AT1001-012 versión 1.0 del 30 de Septiembre de 2010.

8  
9



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

DISPOSICIÓN N°

0212

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria, los materiales y el material biológico y enviar material biológico a USA, Brasil y Alemania.

Que el protocolo y los modelos de consentimiento informado para el paciente versiones generales, 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 propuestos juntamente con sus antecedentes profesionales.

Que a fojas 552-574 obra el informe técnico favorable de la Dirección de Evaluación de Medicamentos.

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 N° 6677/10, que aprueba el Régimen de Buena Práctica Clínica para Estudios de Farmacología Clínica.

*J,*



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

DISPOSICIÓN Nº **0212**

Que se actúa en virtud a las facultades conferidas por el Decreto Nº 1490/92 y del Decreto Nº 425/10.

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma Quintiles Argentina S.A. en representación para este estudio por Amicus Therapeutics, Inc. (EEUU), a realizar el estudio clínico denominado: "ESTUDIO RANDOMIZADO, ABIERTO, PARA COMPARAR LA EFICACIA Y LA SEGURIDAD DEL AT1001 Y LA TERAPIA DE REEMPLAZO ENZIMÁTICO (TRE) EN PACIENTES CON ENFERMEDAD DE FABRY Y MUTACIONES EN EL GLA QUE RESPONDEN AL AT1001, QUE PREVIAMENTE RECIBIERON TRATAMIENTO CON TRE". Protocolo AT1001-012 versión 1.0 del 30 de Septiembre de 2010, que se llevará a cabo en el centro y a cargo del investigador que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición.

5,



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

DISPOSICIÓN N°

0212

ARTICULO 2º.- Apruébanse los modelos de consentimiento informado: Información para el Menor y Formulario de Asentimiento, Versión 1.0, Final, 21 de junio de 2011, obrante a fojas 410-420; Formulario de Consentimiento Informado para los Padres, Versión 1.0, Final, del 03 de Agosto de 2011, obrante a fojas 462-481 y Formulario de Consentimiento Informado, Versión 2.0, Final, del 02 de Agosto de 2011, obrante a fojas 502-522.

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de la droga, los materiales y material biológico 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 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

5  
2  
GEP



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

DISPOSICIÓN Nº **0212**

correspondientes, asumiendo el solicitante las responsabilidades emergentes de los posibles daños que pudieran haber 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 6677/10.

ARTICULO 7º.- Establécese que de acuerdo a lo dispuesto en el punto 3.11, Sección C, Anexo I de la Disposición ANMAT nº 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.

ARTICULO 8º.- Regístrese; gírese al departamento de Registro a sus efectos, por el Departamento de Mesa de Entradas notifíquese al interesado y hágase

57  
/



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

DISPOSICIÓN N° **0212**

entrega de la copia autenticada de la presente Disposición. Cumplido,  
archívese PERMANENTE.

Expediente N° 1-0047-0000-005810-11-4.

DISPOSICION N°

rc

**0212**

  
Dr. OTTO A. ORSINGER  
SUB-INTERVENTOR  
A.N.M.A.T.




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

0212

ANEXO I

1.- PATROCINANTE: Quintiles Argentina S.A., en representación para este estudio por Amicus Therapeutics, Inc.

2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: "ESTUDIO RANDOMIZADO, ABIERTO, PARA COMPARAR LA EFICACIA Y LA SEGURIDAD DEL AT1001 Y LA TERAPIA DE REEMPLAZO ENZIMÁTICO (TRE) EN PACIENTES CON ENFERMEDAD DE FABRY Y MUTACIONES EN EL GLA QUE RESPONDEN AL AT1001, QUE PREVIAMENTE RECIBIERON TRATAMIENTO CON TRE". Protocolo AT1001-012 versión 1.0 del 30 de Septiembre de 2010, que se llevará a cabo en el centro y a cargo del investigador que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición.

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	Norberto Ricardo Antongiovanni
Nombre del centro	Instituto de Nefrología Pergamino S.R.L.
Dirección del centro	Av. De Mayo 1115, Pergamino, Buenos Aires, (CP B2700CPM)
Teléfono/Fax	(02477)-433928

2/cep



0212

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

Correo electrónico	nantongiovanni1@yahoo.com.ar
Nombre del CEI	Comité de Ética de CER Investigaciones Clínicas (CECIC)
Dirección del CEI	Vicente Lopez 1441, Quilmes, Buenos Aires.
Nº de versión y fecha del consentimiento	N/A.

5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

- 100 kits conteniendo 28 cápsulas de Migalastat HCL (AT1001) 150mg
- 100 kits conteniendo 28 cápsulas de Migalastat HCL (AT1001) 150mg o placebo
- 30 viales de 10ml conteniendo 300 mg/ml de Iohexol (Omnipaque™)
- 30 viales de 50ml conteniendo 300 mg/ml de Iohexol (Omnipaque™)

6.- INGRESO DE MATERIALES:

• 1.000 kits de Laboratorio
• 10.000 tubos
• 5.000 tubos con citrato
• 5.000 tubos con gel separador
• 5.000 tubos con EDTA
• 5.000 tubos para el transporte de muestras
• 5.000 recipientes para recolección de orina
• 5.000 recipientes estériles para recolección de muestras
• 5.000 tests de embarazo
• 5.000 agujas
• 5.000 pipetas
• 5.000 viales plásticos
• 4.000 bolsas con cierre hermético para el transporte de muestras
• 4.000 tiras reactivas para orina
• 4.000 tabletas conservantes para el transporte de orina

7.- INGRESO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Muestras de sangre y orina serán importadas desde Chile y Brasil a:

S,





0212

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

CentraLab
Cnel.Niceto Vega 5651
Buenos Aires
C1414BFE
Argentina.

8.- ENVÍO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Muestras de sangre, plasma, leucocitos y orina serán exportadas a:
PPD Development LLC
3230 Deming Way Middleton,
WI 53562, USA.
Celerion
624 Peach Street,
Lincoln, NE, 68502
USA.
Covance Central Lab Services
8211 Scicor Dr., Indianapolis,
IN 46214, USA.
QLAB Atlanta
Quintiles Laboratories, Ltd
1600 Terrell Mill Road, SE, Suite 100
Marietta, GA 30067-8340
USA.
Cardiocre
6901 Rockledge Drive, Suite 700
Bethesda, MD 20817
USA.
Eurofins Medigenomix GmbH
Anzinger Str. 7 a, Ebersberg
D-85560, Germany.
Quintiles Laboratories Europe
The Alba Campus
Rosebank, Livingston, EH54 7EG, UK
Quintiles East Asia Pte Ltd

0  
/



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

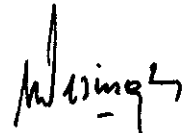
79 Science Park Drive #06-08, Cintech IV,
Singapore Science Park One,
Singapore.118264
Diagnósticos da América S.A.
Avenida Juruá 434
Barueri, SP
06455-010, Brasil.
PPD Global Central Labs, LLC
2 Tesseneer Drive
Highland Heights, KY
41076-9753, USA.

Expediente Nº 1-0047-0000-005810-11-4.

DISPOSICION Nº

**0212**

rc

  
Dr. OTTO A. ORSINGER  
SUB-INTERVENTOR  
A.N.M.A.T.

