



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

## DISPOSICIÓN N° 0956

BUENOS AIRES, 26 DE ENERO DE 2015.-

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000162-14-7, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

### CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma PPD Argentina S.A., en representación de PTC Therapeutics, Inc., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: PTC124-GD-021-CF: Un estudio fase 3 de eficacia y seguridad de Ataluren (PTC124®) en pacientes con fibrosis quística por mutación sin sentido. Protocolo Versión 1.0, 14 de marzo de 2014.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria y materiales y enviar material biológico a Estados Unidos.

Que el protocolo y los modelos 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° 0956

Que el informe técnico de la Dirección de Evaluación y Registro de Medicamentos, (DERM-INAME), (obrando en el adjunto del 04 de Diciembre de 2014), 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 del Decreto N° 1886/14.

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma PPD Argentina S.A. en representación de PTC Therapeutics, Inc., a realizar el estudio clínico denominado: PTC124-GD-021-CF: Un estudio fase 3 de eficacia y seguridad de Ataluren (PTC124®) en pacientes con fibrosis quística por mutación sin sentido. Protocolo Versión 1.0, 14 de marzo de 2014, que se llevará a cabo en el centro y a cargo del investigador que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición.



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

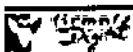
## DISPOSICIÓN N° 0956

ARTICULO 2º.- Apruébanse los modelos de consentimiento informado: Formulario de Consentimiento Informado e Información para el Paciente Adulto en Español para Argentina versión 1.2 de fecha 19 de septiembre de 2014 - Dr. Alberini; Formulario de Consentimiento Informado e Información para el Padre / Tutor en Español para Argentina versión 1.2 de fecha 19 de septiembre de 2014 - Dr. Alberini; Formulario de Asentimiento Informado para Niños de 7 a 13 años en Español para Argentina versión 1.1 de fecha 30 de junio de 2014 - Dr. Alberini y Formulario de Asentimiento Informado para Niños de 14 a 17 años en Español para Argentina versión 1.1 de fecha 30 de junio de 2014 Dr. Alberini, (obrantes en el documento adjunto del 07/10/2014 06:23:03 P.M. - PARTE B - CONSENTIMIENTO INFORMADO ESPECIFICO DEL CENTRO.PDF).

ARTICULO 3º.--Autorízase el ingreso de la medicación 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 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





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

## DISPOSICIÓN N° 0956

solicitante las responsabilidades emergentes de los posibles daños que pudieran caber 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 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 PPD 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; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N° 1-0047-0002-000162-14-7.

DISPOSICION N°

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



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

## DISPOSICIÓN N° 0956

### ANEXO I

- 1.- PATROCINANTE: PPD Argentina S.A., en representación de PTC Therapeutics, Inc.
- 2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: PTC124-GD-021-CF: Un estudio fase 3 de eficacia y seguridad de Ataluren (PTC124®) en pacientes con fibrosis quística por mutación sin sentido. Protocolo Versión 1.0, 14 de marzo 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	Nicolás Gastón Alberini
Nombre del centro	Hospital Universitario Austral
Dirección del centro	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar, Buenos Aires Argentina (B1629ODT)
Teléfono/Fax	(0230) 448 2831 / (0230) 448 2211
Correo electrónico	nalberini@cas.austral.edu.ar
Nombre del CEI	Comité Institucional de Evaluación Hospital Universitario Austral
Dirección del CEI	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar, Buenos Aires Argentina (B1629ODT)

### 5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

Droga	Forma Farmacéutica	Concentración	Cantidad
Ataluren (PTC124) 125 mg	Sobres con polvo para suspensión oral	125 mg	480 kits = 31200 sobres (cada kit contiene 65 sobres)
Placebo para	Sobres con polvo para	125 mg	480 kits = 31200



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

## DISPOSICIÓN N° 0956

Ataluren 125 mg	suspensión oral		sobres (cada kit contiene 65 sobres)
Ataluren (PTC124) 250 mg	Sobres con polvo para suspensión oral	250 mg	1080 kits = 70200 Sobres (cada kit contiene 65 sobres)
Placebo para Ataluren (PTC124) 250 mg	Sobres con polvo para suspensión oral	250 mg	1080 kits = 70200 Sobres (cada kit contiene 65 sobres)
Ataluren (PTC124) 1000 mg	1000 mg de polvo para suspensión oral	1000 mg	480 kits = 31200 sobres (cada kit contiene 65 sobres)
Placebo para Ataluren (PTC124) 1000 mg	1000 mg de polvo para suspensión oral	1000 mg	480 kits = 31200 sobres (cada kit contiene 65 sobres)

### 6.- INGRESO DE MATERIALES:

Detalle	Cantidad
Kits de laboratorio para recolección de material biológico	500
Caja de transporte a temperatura ambiente (Box-Ambient Shipper) Fully Loaded (Gel rap/Sample Bag/Seal) (3PL y NS)	300
Caja de transporte congelada (Box- Frozen Shipper)-5lb. W/(1) Sample Bag Max/25 Samples	300
Caja de transporte refrigerada (Box-Refrigerated Shipper)	400
Tarjeta-PTCT0002	10
Collection Flow Chart-Spanish	7
Commode Hat	200
Gel - Caja de transporte a temperatura ambiente - (Gel Pack- Ambient Shipper Gel) Envoltura blanca / clara	700
Manual en Español	7
Frasco de recolección de orina con tapa	100

Otros Materiales – Solicitar la autorización para importar:

Detalle	Cantidad
Bolsas para transporte de medicamento	50
Centrífuga refrigerada	8



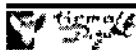
Ministerio de Salud  
Secretaría de Políticas,  
Regulación e Institutos  
A.N.M.A.T.

## DISPOSICIÓN N° 0956

Computadora (Notebook) con cables y accesorios	8
Impresora con cables y accesorios	8
Sistemas de espirometría Vitalograph Pneumotrac con accesorios (ej. cables, manuales, guías instructivas, tubo (grey tubing), unidad de base, unidad principal, jeringa)	8
Tubo y unidad de base, cable USB	8
Jeringa de precisión de 3 lt.	8
Clips para nariz (Nose Clips) en paquetes por 10 unidades	100
Filtros bacterianos en bolsas de 50 unidades	20
PC-ECG 1200M: Electrocardiograma de reposo para PC (incluye dispositivo beams, módulo de adquisición, cable USB y cables accesorios)	8
Cable USB	8
Electrodos en cajas (Lead-Lok electrodes) x 100 unidades	20
Resmas de papel para impresora	8

### 7.-ENVÍO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Tipo de muestra	Destino
Muestras de sangre	PPD Global Central Labs. 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, Estados Unidos
Muestras de sangre	Ambry Genetics 15 Argonaut Aliso Viejo, CA 92656, Estados Unidos





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

## DISPOSICIÓN N° 0956

Muestras de suero	PPD Global Central Labs. 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, Estados Unidos
Muestras de plasma	PPD Global Central Labs. 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, Estados Unidos
Muestras de materia fecal	PPD Global Central Labs. 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, Estados Unidos
Muestras de orina	PPD Global Central Labs. 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, Estados Unidos

Expediente N° 1-0047-0002-000162-14-7

DISPOSICION N°