



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

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-000345-18-7

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000345-18-7, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma SANOFI-AVENTIS Argentina S.A., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: EFC13738: ELIKIDS Estudio multicéntrico, abierto, de dos cohortes (con y sin imiglucerasa) para evaluar la farmacocinética, seguridad y eficacia de eliglustat en pacientes pediátricos con enfermedad de Gaucher tipo 1 y tipo 3, Protocolo V 1 del 25/05/2017 con Carta compromiso para los Investigadores versión 2 de fecha 28 de Noviembre de 2018: 1.participación de un profesional médico especialista en cardiología infanto-juvenil; 2. cohorte 2 a partir de la semana 52: agravamiento clínico luego de pasar a Eliglustat monoterapia..

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria 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 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 SANOFI-AVENTIS Argentina S.A. a realizar el estudio clínico denominado: EFC13738: ELIKIDS Estudio multicéntrico, abierto, de dos cohortes (con y sin imiglucerasa) para evaluar la farmacocinética, seguridad y eficacia de eliglustat en pacientes pediátricos con enfermedad de Gaucher tipo 1 y tipo 3, Protocolo V 1 del 25/05/2017 con Carta compromiso para los Investigadores versión 2 de fecha 28 de Noviembre de 2018: 1.participación de un profesional médico especialista en cardiología infanto-juvenil; 2. cohorte 2 a partir de la semana 52: agravamiento clínico luego de pasar a Eliglustat monoterapia..

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/s informado/s:	
Nombre del investigador	Monica Leonor Makiya
Nombre del centro	Hospital Italiano de Buenos Aires
Dirección del centro	Juan Domingo Peron 4190 CABA
Teléfono/Fax	49590200
Correo electrónico	monica.makiya@hospitalitaliano.org.ar
Nombre del CEI	Comite de etica de protocolos de investigacion -Hospital Italiano de Buenos Aires
Dirección del CEI	Juan Domingo Peron 4190 CABA
Consentimiento informado	Formulario de Consentimiento Informado para Pacientes de 13 a 15 Años de Edad Inclusive con asistencia de su padre / madre o tutor legal Argentina Versión en español N° 1.2.1 - Fecha 10 de agosto de 2018 : V 1.2.1 (10/08/2018)
	Formulario de Consentimiento Informado para Pacientes de 16 a 17 Años de Edad Inclusive con Asistencia de su Padre / Madre o Tutor Legal Argentina Versión en español N° 1.2.1 - Fecha 10 de agosto de 2018: V 1.2.1 (10/08/2018)
	Asentimiento para niños de hasta 12 años de edad inclusive Argentina Versión en español N° 1.2.1 - Fecha 10 de agosto de 2018: V 1.2.1 (10/08/2018)
	Formulario de Asentimiento para Padres y Tutores Legales de Adolescentes de 13 a 17 Años de Edad Inclusive Argentina Versión en español N° 1.2.1 - Fecha 10 de agosto de 2018: V 1.2.1 (10/08/2018)
	Formulario de Consentimiento Informado para Padres y Tutores Legales de Niños de 2 hasta 12 Años de Edad Inclusive Argentina Versión en español N° 1.2.1 - Fecha 10 de agosto de 2018: V 1.2.1 (10/08/2018)

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
Eliglustat (GZ385660)	capsula	miligramos	segun edad y peso del paciente		200 kits	cada kit conteniendo 1 botella de 60 capsulas
Eliglustat (GZ385660)	cápsula	miligramos	Según edad/peso del paciente		200 kits	Cada kit conteniendo 1 Botella con 60 cápsulas
Eliglustat (GZ385660)	capsula	miligramos	Según edad/peso del paciente		200 kits	Cada kit conteniendo 1 Botella con 60 cápsulas
Imiglucerasa	Polvo para concentrado para infusión	Unidades Internacionales	Según peso del paciente		2000 kits	Cada kit conteniendo 1 vial

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Vaso de colección de orina - (CONTAINER, STERILE URINE CUP)	1000
Kits de prueba de embarazo en orina - (TEST, HCG URINE PREGNANCY)	1000
Kits de Tiras reactivas para orinalisis	100
Hoja Laminada - (Laminated Synopsis, LatAm, Span)	10
manuales de laboratorio	10
Scanner Laser -Voyager 1250g	3
Spine Phantom (ESP) - Equipo para calibrar/ajustar Densitómetro óseo	5
Equipo de Holter (que incluye su sujetador y su bolso de transporte)	3
Equipo lector (lectora) de tarjeta de memoria del Holter	3
Cable Paciente para Holter	3
Flash Cards (Tarjetas de memoria removibles para Holter)	30
electrodos	10000
Laptop con accesorios (cable de energía, cable internet, cable telefono)	3
NND easyOne Pro device	4
Impresora con accesorios (cable de energía, cable USB)	4
NDD Trueflow PC Sensor	4
Spirettes – NDD	100
Cut off spirettes	100
Nose Clips (Clips nasals)	100
DLCO barriettes	100
Máscara sin cámara de aire (Mask NO Air valve)	10
2GB USB Flash Drive	4
DLCO Regulator	4
Carro de transporte (trolley)	4
Botellas Ambar (Amber Bottles)	1500

Tapa de Botellas Ambar (Child resistant Bottle Cap)	1500
Adaptador de botellas (Press in Bottle Adapters)	1500
Jeringas 3mL (3 mL Oral Syringes)	21600
Jeringas 10mL (10 mL Oral Syringes)	21600
Jarabe con sabor a Cereza (Humco Cherry Oral Vehicle Syrup)	60
Jarabe con sabor a Cereza libre de azúcar (SugarFree Cherry Syrup - SyrSpend® SF - Fagrom Oral Vehicle Syrup)	60
Suspension Demo Kit (1 botella ambar, 1 adaptador de botella, 1 tapa de botella ambar, 1 jeringa 3mL, 1 jeringa 10mL)	5
Capsule Demo Card	5
Bolso para traslado de Medicación Refrigerada (Insulated Backpack)	10
Cuestionarios de Calidad de Vida (Patient Booklets)	100
DLco gas cylinder	4
Tank holder/trolley per gas tank	4
Kit de Mantenimiento anual para NDD EasyOne Pro LAB, incluyendo: Pack de Filtro, Gas supply tube Tubo para equipo de Gas, One-way valvula, Gas Overflow valvula	4
Kits de Laboratorio (Lab collection kits for clinical trials)	500

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, suero/plasma, orina	COVANCE CENTRAL LABORATORY SERVICES L.P. 8211 SciCor Drive, Indianapolis, IN 46214-2985 Estados Unidos COVANCE BIOREPOSITORY Building 210 - 671 South Meridian Road Greenfield, IN 46140 Estados Unidos	Argentina	

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 N° 6677/10.

ARTICULO 7.- Establécese la obligación por parte del patrocinador del cumplimiento de la Carta compromiso para los Investigadores versión 2 de fecha 28 de Noviembre de 2018, que establece que 1°) deberá formar parte del equipo de investigación de manera activa y vinculante un médico especialista en cardiología infanto-juvenil, con el fin de establecer /realizar el correcto control y seguimiento de los pacientes durante todo el estudio, valorando la pertinencia de los distintos estudios a realizarse, en conjunto con el Investigador principal y determinando la frecuencia de los controles mediante ECG y ecocardiograma de acuerdo a su criterio médico; y 2°) Para los pacientes de cohorte 2 que pasen a recibir

Eliglustat monoterapia a partir de semana 52, en caso de empeoramiento clínico , el Investigador y el Patrocinador discutirán la mejor opción de terapia para el paciente fuera del protocolo, incluyendo reiniciar la terapia de combinación Eliglustat+ Imiglucerasa .

ARTICULO 8°.- Regístrese; notifíquese al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N°: 1-0047-0002-000345-18-7