



**República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional**  
2018 - Año del Centenario de la Reforma Universitaria

**Disposición**

**Número:**

**Referencia:** 1-0047-0002-000221-18-8

---

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000221-18-8, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

**CONSIDERANDO:**

Que por las presentes actuaciones la firma F. Hoffmann-La Roche Ltd, representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: ESTUDIO ALEATORIZADO, DOBLE CIEGO, CONTROLADO CON PLACEBO PARA EVALUAR LA EFICACIA, SEGURIDAD Y TOLERABILIDAD DE RO7239361 (BMS-986089) EN NIÑOS VARONES AMBULATORIOS CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE, Protocolo V 2 del 21/08/2017 Carta compromiso para Argentina en relación a hipersensibilidad grave fechada el 12 de abril de 2018 y firmada por el investigador el 18 de abril de 2018. .

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 del Decreto N° 101 de fecha 16 de Diciembre de 2015.

Por ello;

**DISPOSICION Nº: 5950**  
**EL ADMINISTRADOR NACIONAL DE LA ADMINISTRACION NACIONAL DE**  
**MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA**

**DISPONE:**

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma F. Hoffmann-La Roche Ltd representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: ESTUDIO ALEATORIZADO, DOBLE CIEGO, CONTROLADO CON PLACEBO PARA EVALUAR LA EFICACIA, SEGURIDAD Y TOLERABILIDAD DE RO7239361 (BMS-986089) EN NIÑOS VARONES AMBULATORIOS CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE, Protocolo V 2 del 21/08/2017 Carta compromiso para Argentina en relación a hipersensibilidad grave fechada el 12 de abril de 2018 y firmada por el investigador el 18 de abril de 2018..

ARTICULO 2º.- El estudio clínico autorizado por el artículo 1º 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	Dr. Alberto Luis Dubrovsky
Nombre del centro	Instituto Centenario
Dirección del centro	Av. Rivadavia 3855, 2º Piso, C1204AAD, Ciudad Autónoma de Buenos Aires, Argentina
Teléfono/Fax	15 55645590
Correo electrónico	aldubro@gmail.com
Nombre del CEI	Comité de Ética en Investigación Clínica (CEIC)
Dirección del CEI	Larrea 1381 - 3A , C1117ABK, Ciudad Autónoma de Buenos Aires, Argentina
Nº de versión y fecha del consentimiento	Asentimiento: V 3.0.0 ( 26/09/2017 ) Consentimiento Informado para Padres: V 3.2.0 ( 06/04/2018 )

ARTICULO 3º.- 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
Fármaco Activo BMS-986089/ RO7239361	Jeringa Pre-llenada (0,7ml)	miligramos	7.50	96	230 kits (4 jeringas/ kit)	Kit de 4 jeringas pre-llenadas (7.5mg)
Fármaco Activo BMS-986089/ RO7239361	Jeringa Pre-llenada (0,7ml)	miligramos	15.00	96	230 kits (4 jeringas por kit)	kit de 4 jeringas pre-llenadas (15mg)
Fármaco Activo BMS-986089/ RO7239361	Jeringa Pre-llenada (0,7ml)	miligramos	35.00	96	230 kits (4 jeringas por kit)	kit de 4 jeringas pre-llenadas (35mg)

Fármaco Activo BMS-986089/ RO7239361	Jeringa Pre-llenada (0,7ml)	miligramos	50.00	96	230 kits (4 jeringas por kit) DISPOSICION N°: 5956	kit de 4 jeringas pre-llenadas (50mg)
Placebo	Jeringa Pre-llenada (0.7ml)	miligramos	0.00	48	115 kits (4 jeringas por kit)	Jeringa Pre-llenada de 0mg

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Cámara de Video y accesorios	2
Trípode	2
Papel blanco y marcador	2
cronómetros	3
conos de tráfico estándar	3
Subida de 4 escalones y accesorios	2
Cinta adhesiva de color	2
Dinamómetro CITEC y accesorios	2
Goniómetro y accesorios	2
Kit de PUL (Performance Upper Limb - desempeño de miembro superior) y accesorios	2
cinta de medición flexible	2
estadiómetro y accesorios	2
espirómetro y accesorios	2
jeringa de calibración	2
manómetro y accesorios	2
boquilla/ filtro	2
pinzas para la nariz	2
boquilla/ máscara	2
computadora y accesorios	2
dinamómetro de mano y accesorios	2
prueba de DXA (Dual x-ray absorpiometry - absorciometría dual de rayos x) para calibración y accesorios	2
Dispositivo ECG y accesorios	2
Tarjeta de alerta	6
diario de administración de dosis	45
instrucciones para el uso del producto en investigación	6
incentivos para niños a quienes se les hará la espirometría	2
guía de viajes de Greenphire	3
cuestionario PODCI (pediatric Outcome Data Collection Instrument - Instrumento de Recolección de Datos de Resultados Pediátricos) para pacientes pediátricos	19
Cuestionario PODCI para pacientes adolescentes	19
Cuestionario HUI (Health Utilities Index - Índice de Utilidades Sanitarias)	15
Cuestionario sobre la PedsQL (Pediatric Quality of Life - Calidad de Vida Pediátrica) e instrucciones de puntuación	19
Bolsa térmica	5
paquetes de hielo	9
recipientes de objetos punzocortantes	25
gasas adhesivas hipoalergénicas para heridas	3

toallas desinfectantes Anios		3
gasa o bolita de algodón		3
Impresora y accesorios	DISPOSICION N°:5950	2
Kit de selección, Kit del Día 1, Kit de Semana 1, Kit de Semana 2, Kit de Semana 4, Kit de Semana 12, Kit de Semana 24, Kit de Semana 36, Kit de Semana 48/ fin de tratamiento, Kit de Semana 1 de etiqueta abierta, Kit de Semana 2 de etiqueta abierta, Kit de Semana 3 de etiqueta abierta, Kit de Semana 12 de etiqueta abierta, Kit de Semana 24 de etiqueta abierta, Kit de Semana 24 de etiqueta abierta, Kit de Semana 36 de etiqueta abierta, Kit de Semana 48 de etiqueta abierta// fin de tratamiento, Kit de Semana 8 de seguimiento, Kit de Semana 16 de seguimiento, Kit de Semana 16 de seguimiento, Kit de Semana 24 de seguimiento, Kit no programado		202

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
panel de bioquímica	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
Panel hematológico	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
panel de urinálisis	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
Glutamato deshidrogenasa (GLDH)	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
CK-MM (Isoenzima de la creatina-cinasa)	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
pruebas plaquetarias	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
inmunogenicidad	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
NAB (confirmatoria)	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
miostatina libre	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
complejo de miostatina - fármaco	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
complejo de GDF 11- fármaco	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
biomarcadores exploratorios en suero	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
biomarcadores exploratorios en orina	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
muestras de sangre para genotipificación exploratoria	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
suero para investigaciones adicionales	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	Argentina
farmacocinética	ICON Laboratories Inc, 123 Smith Street, Farmingdale, NY 11735, EE. UU.	Instituto Centenario	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 **DISPOSICION N°:5950**

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 caer 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 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 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.

ARTICULO 8.- Establécese la obligación por parte del Patrocinador y del Investigador Principal de cumplir con la Carta compromiso para Argentina en relación a hipersensibilidad grave fechada el 12 de abril de 2018 y firmada por el investigador el 18 de abril de 2018 que refiere que: Si el paciente llegara a presentar hipersensibilidad grave (p ej. Edema de glotis, anafilaxia), no podrá continuar en el estudio. La hipersensibilidad grave será considerada como un criterio de discontinuación.

ARTÍCULO 9.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N°: 1-0047-0002-000221-18-8.