



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

2010 "Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo"

DISPOSICIÓN N° 2621

BUENOS AIRES, 27 MAY 2010

VISTO el Expediente N° 1-0047-020319-09-3 del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Amicus Therapeutics, Inc, representado en Argentina para este estudio por QUINTILES ARGENTINA S.A. solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: "Estudio doble ciego, randomizado, controlado con placebo para evaluar la eficacia, seguridad y farmacodinamia del AT1001 en pacientes con enfermedad de Fabry y mutaciones en el *GLA* que responden al AT1001". Protocolo N° AT1001-011. Versión 10 de junio de 2009.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria y enviar material biológico a: PPD Development LLC - 3230 Deming Way Middleton, WI 53562, USA.. PPD Global Central Labs - 2 Tesseneer Drive. Highland Heights, KY 41076, USA.. MDS Pharma Services - 624 Peach Street, Lincoln, NE, 68502, USA.. Covance Central Lab Services - 8211 Scicor Dr., Indianapolis, IN 46214, USA.. Cincinatti Children's Hospital. Cytogenetics & Molecular Genetics Lab, 3333 Burnet Avenue Room R-1042. Cincinatti, OH 45299, USA.. Mt. Sinai School of Medicine Dept of Pathology - 1428 Madison Avenue, New York, NY 10029, USA.. QLAB Atlanta. Quintiles Laboratories, Ltd - 1600 Terrell Mill Road, SE, Suite 100



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

2010 "Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo"

DISPOSICIÓN N° 26211

Marietta, GA 30067-8340, USA.. Cardiocore - 6901 Rockledge Drive, Suite 700. Bethesda, MD 20817, USA.

Que el transporte de muestras deberá cumplir con las normas de Bioseguridad Res Ministerial N° 393/94 y el de envío de muestras biológicas deberá efectuarse bajo el estricto cumplimiento de las normas IATA correspondientes.

Que el Protocolo y el modelo de Consentimiento Informado, Versión 1.0, Final, 02 de octubre de 2009 de 21 folios, para el paciente ha sido aprobado por el Comité de Revisión Institucional del Hospital Británico de Buenos Aires.

Que asimismo el presente protocolo de investigación clínica fue autorizado por los Comité de Docencia e Investigación del centro donde se llevará a cabo, adjuntándose la declaración jurada y el consentimiento de adhesión al protocolo del profesional responsable del centros propuesto, juntamente con sus antecedentes profesionales.

Que a fojas 335 a 352 obra el informe técnico favorable de la Dirección de Evaluación de Medicamentos.

Que se aconseja acceder a lo solicitado por haberse cumplimentado lo establecido en la Disposición N° 5330/97, que aprueba el Régimen de Buenas Prácticas de Investigación en Estudios de Farmacología Clínica.

Que se actúa en virtud a las facultades conferidas por el Decreto N° 1490/92 y del Decreto N° 425/10.



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

2010 "Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo"

DISPOSICIÓN N° 2621

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma Amicus Therapeutics, Inc, representado en Argentina para este estudio por QUINTILES ARGENTINA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: "Estudio doble ciego, randomizado, controlado con placebo para evaluar la eficacia, seguridad y farmacodinamia del AT1001 en pacientes con enfermedad de Fabry y mutaciones en el *GLA* que responden al AT1001". Protocolo N° AT1001-011. Versión 10 de junio de 2009, que se llevará a cabo en el centro a cargo del investigador que se detallan en el Anexo I de la presente Disposición.

ARTICULO 2º.- Apruébase el modelo de consentimiento informado: "Formulario de Consentimiento Informado para Participar en un Estudio de Investigación Clínica y Autorización para Revelar Información Referida a la Salud". Versión 1.0, Final, 02 de octubre de 2009, fs. 271/291.

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° 5330/97.



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

2010 "Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo"

DISPOSICIÓN N° 2621

ARTICULO 4°.- 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 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° 5330/97.

ARTICULO 7°.- Regístrese; gírese al departamento de Registro a sus efectos, por el Departamento de Mesa de Entradas notifíquese al interesado y hágase entrega de la copia autenticada de la presente Disposición. Cumplido, archívese PERMANENTE.

Expediente N° 1-0047-020319-09-3.

DISPOSICION N°

2621


DR. CARLOS CHIALE
INTERVENTOR
A.N.M.A.T.







2621

ANEXO I

1.- PATROCINANTE:

Amicus Therapeutics, Inc, representado en Argentina para este estudio por QUINTILES ARGENTINA S.A..

2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO:

"Estudio doble ciego, randomizado, controlado con placebo para evaluar la eficacia, seguridad y farmacodinamia del AT1001 en pacientes con enfermedad de Fabry y mutaciones en el *GLA* que responden al AT1001". Protocolo N° AT1001-011. Versión 10 de junio de 2009.

3.- FASE DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA: Fase III.

4.- CENTROS PARTICIPANTES E INVESTIGADORES:

Hospital Británico de Buenos Aires. Perdriel 74. Ciudad Autónoma de Buenos Aires (C1208AEB). Investigador Principal: Dr. Reisin, Ricardo Claudio.

5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

Drogas	Forma farmacéutica	Ppio Activo y Concentración
AT1001 (migalastat clorhidrato)	Cápsulas	30 frascos conteniendo 20 cápsulas de Migalastat HCL (AT1001) 150mg.
AT1001 (migalastat clorhidrato)	Cápsulas	30 frascos conteniendo 20 cápsulas de Migalastat HCL (AT1001) 150mg o placebo.
Iohexol (Omnipaque™)	viales de 10ml	50 viales de 10ml conteniendo 300 mg/ml de Iohexol (Omnipaque™)



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

2010 "Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo"

2621

6.- INGRESO DE MATERIAL DE LABORATORIO:

500 kits de laboratorio; 10 termómetros; 360 tubos al vacío con gel separador; 360 tubos al vacío con edta; 360 tubos al vacío con citrato; 360 tubos al vacío con citrato; 360 viales conteniendo solución de glutaraldehído; 360 pipetas plásticas descartables para la transferencia de suero/plasma/orina; 360 tubos plásticos con tapa a rosca para transporte de suero; 360 tubos plásticos con tapa a rosca para transporte de plasma; 360 tubos plásticos con tapa a rosca para transporte de orina; 360 bolsas porta-tubos absorbentes; 360 bolsas porta-tubos de plástico; 360 bolsas con cierre hermético para el transporte de muestras; 360 agujas; 360 frascos estériles para la toma de muestra de orina; 360 recipientes para recolección de orina; 360 tests de embarazo en orina; 360 jarras para orina de 24 horas; 360 tabletas conservantes para el transporte de orina; 180 portaobjetos; 360 sostenedores de aguja; 500 sostenedores de portaobjetos con 2 portaobjetos de vidrio; 500 pipetas; 500 apósitos; 180 cajas de transporte para especímenes diagnósticos y materiales para acondicionar dichas muestras según normas iata; 36 cajas de material a granel: contiene material suelto, idéntico al descrito en el contenido de los kits específicos de visita.

7.- ENVIO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Tipo de Muestra: Muestras de sangre, suero, plasma, orina y tejido de riñón serán exportadas a:

Destinos: PPD Development LLC - 3230 Deming Way Middleton, WI 53562, USA. PPD Global Central Labs - 2 Tesseneer Drive. Highland Heights, KY 41076, USA. MDS Pharma Services - 624 Peach Street, Lincoln, NE, 68502, USA.



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

2010 "Año del Bicentenario de la Revolución de Mayo"

Covance Central Lab Services - 8211 Scicor Dr., Indianapolis, IN 46214, USA
Cincinnati Children's Hospital. Cytogenetics & Molecular Genetics Lab, 3333 Burnet
Avenue Room R-1042. Cincinnati, OH 45299, USA.
Mt. Sinai School of Medicine Dept of Pathology - 1428 Madison Avenue, New York,
NY 10029, 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.

Expediente N° 1-0047-020319-09-3

DISPOSICION N°

h

2621

DR. CARLOS CHIALE
INTERVENTOR
A.N.M.A.T.