



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

DISPOSICIÓN N° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

BUENOS AIRES, **30 DE MAYO DE 2016.-**

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000005-16-9, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma PTC Therapeutics, Inc, representada por PPD Argentina S.A., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: PTC124-GD-021e-CF: Estudio de extensión de fase 3 de Ataluren (PTC124) en pacientes con fibrosis quística por mutación sin sentido. Versión 1.0, 27 de marzo de 2015 y carta compromiso, versión 1.0 de fecha 14 de marzo de 2016.

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

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 de los investigadores 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° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

Que el informe técnico de la Dirección de Evaluación y Registro de Medicamentos, (DERM-INAME), (obrante en el adjunto del 21 de abril de 2016), 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 Decreto N° 101 de fecha 16 de diciembre de 2015.

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma PTC Therapeutics, Inc, en representación de PPD Argentina S.A., a realizar el estudio clínico denominado: PTC124-GD-021e-CF: Estudio de extensión de fase 3 de Ataluren (PTC124) en pacientes con fibrosis quística por mutación sin sentido. Versión 1.0, 27 de marzo de 2015 y carta compromiso, versión 1.0 de fecha 14 de marzo de 2016, que se llevará a cabo en el



DISPOSICIÓN N° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

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

centro y a cargo de los investigadores que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición.

ARTICULO 2º.- Apruébanse los modelos de consentimiento informado: Formulario de Asentimiento Informado para Niños de 6 a 12 años en Español para Argentina versión 1.2 de fecha 26 de octubre de 2015_Específico para Dr. Alberini_Centro #2132 (obrante en el adjunto 10/02/2016 10:50:53 A.M. - PARTE B - CONSENTIMIENTO INFORMADO ESPECIFICO DEL CENTRO.PDF); Formulario de Consentimiento Informado para el Paciente Adulto en Español para Argentina versión 1.3 de fecha 10 de marzo de 2016_Específico para Dr. Alberini_Centro #2132; Formulario de Consentimiento/Asentimiento Informado para Padres / Tutores en Español para Argentina versión 1.4 de fecha 10 de marzo de 2016_Específico para Dr. Alberini_Centro #2132; Formulario de Consentimiento Informado para Adolescentes de 13 a 15 años en Español para Argentina versión 1.3 de fecha 10 de marzo de 2016_Específico para Dr. Alberini_Centro #2132 y Formulario de Consentimiento Informado para Adolescentes de 16 a 17 años en Español para Argentina versión 1.1 de fecha 10 de marzo de 2016_Específico para Dr. Alberini_Centro #2132 (obrantes en el adjunto 11/04/2016 10:58:16 A.M. - RESPUESTA DE OBJECION.PDF).

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de la medicación y materiales que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición, al sólo efecto de la investigación que se



DISPOSICIÓN N° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

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

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 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 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 no pudiendo eximirse



DISPOSICIÓN N° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

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

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 8º.- Establécese que forma parte de la presente autorización la Carta Compromiso, versión 1.0 de fecha 14 de marzo de 2016, mediante la cual el patrocinador se obliga a realizar pruebas de embarazo a las pacientes con una frecuencia mensual durante el tratamiento del estudio y cuatro semanas después de la última dosis del medicamento del estudio. Los investigadores deberán entregar las pruebas de embarazo a las pacientes de sexo femenino si las visitas del estudio tienen lugar con una diferencia de más un mes y todos los meses realizarán el seguimiento de las pacientes para verificar los resultados de la prueba.

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

Expediente N° 1-0047-0002-000005-16-9.

DISPOSICION N°



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

DISPOSICIÓN N° 05718

"2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional".

ANEXO I

- 1.- PATROCINANTE: PPD Argentina S.A, en representación de PTC Therapeutics, Inc.
- 2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: PTC124-GD-021e-CF: Estudio de extensión de fase 3 de Ataluren (PTC124) en pacientes con fibrosis quística por mutación sin sentido. Versión 1.0, 27 de marzo de 2015 y carta compromiso, versión 1.0 de fecha 14 de marzo de 2016.
- 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:



DISPOSICIÓN N° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

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

Droga	Forma Farmacéutica	Concentración	Cantidad
Ataluren (PTC124) 125 mg	Sobres con polvo para suspensión oral	125 mg	480 kits = 57600 sobres (cada kit contiene 120 sobres)
Ataluren (PTC124) 250 mg	Sobres con polvo para suspensión oral	250 mg	480 kits = 57600 sobres (cada kit contiene 120 sobres)
Ataluren (PTC124) 1000 mg	1000 mg de polvo para suspension oral	1000 mg	480 kits = 57600 sobres (cada kit contiene 120 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 Wrap/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



DISPOSICIÓN N° 05718

“2016 - Año del Bicentenario de la Declaración de la Independencia Nacional”.

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

Frasco de recolección de orina con tapa	100
---	-----

Otros Materiales - Solicitar la autorización para importar:

Detalle	Cantidad
Clips para nariz (Nose Clips) en paquetes por 10 unidades	100
Filtros bacterianos en bolsas de 50 unidades	500
Resmas de papel para impresora	20

7.- ENVIO 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 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 orina	PPD Global Central Labs. 2 Tesseneer Drive Highland Heights, KY 41076, , Estados Unidos

Expediente N° 1-0047-0002-000005-16-9.

DISPOSICION N°


anmat
CHIALE Carlos Alberto
CUIL 2012091113