



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
Las Malvinas son argentinas

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001131-22-5

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001131-22-5, 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: EFC17215 Estudio de fase 3, multicéntrico, multinacional, aleatorizado, doble ciego, con doble simulación, con comparador activo, para evaluar la eficacia y la seguridad del venglustat en pacientes adultos y pediátricos con enfermedad de Gaucher tipo 3 que han alcanzado objetivos terapéuticos con terapia de reemplazo enzimático, Protocolo de estudio clínico V 1 del 29/10/2021 _.

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 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: EFC17215 Estudio de fase 3, multicéntrico, multinacional, aleatorizado, doble ciego, con doble simulación, con comparador activo, para evaluar la eficacia y la seguridad del venglustat en pacientes adultos y pediátricos con enfermedad de Gaucher tipo 3 que han alcanzado objetivos terapéuticos con terapia de reemplazo enzimático, Protocolo de estudio clínico V 1 del 29/10/2021 _.

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	Guillermo Isaías Drelichman
Nombre del centro	Hospital de Niños “Dr. Ricardo Gutiérrez”
Dirección del centro	Gallo 1330, (C1425EFD), Ciudad Autónoma de Buenos Aires
Teléfono/Fax	11 4173 5613
Correo electrónico	drgdrelichman@yahoo.com.ar
Nombre del CEI	Comité de Ética en Investigación del Hospital de Niños “Dr. Ricardo Gutiérrez”
Dirección del CEI	Gallo 1330, (C1425EFD), Ciudad Autónoma de Buenos Aires
Consentimiento informado	Formulario de Consentimiento para el seguimiento del embarazo de la pareja Argentina - Versión en español N° 1.1 - Fecha 11 de mayo de 2022: V 1.1 (11/05/2022) Información Principal del Estudio y Formulario de Consentimiento Informado para pacientes

<p>adolescentes de 13 a 17 años de edad inclusive con la asistencia de su padre/madre o tutor legal - Argentina - Versión en español N° 1.1.1 - Fecha 27 de septiembre de 2022: V 1.1.1 (27/09/2022)</p> <p>Información Principal del Estudio y Formulario de Consentimiento Informado para padres o tutores legales de niños de 12 años de edad - Argentina - Versión en español N° 1.1.1 - Fecha 27 de septiembre de 2022: V 1.1.1 (27/09/2022)</p> <p>Información Principal del Estudio y Formulario de Consentimiento Informado - Argentina - Versión en español N° 2.1.1 - Fecha 27 de septiembre de 2022: V 2.1.1 (27/09/2022)</p> <p>Información Escrita para el Paciente y Asentimiento para niños de 12 años de edad - Argentina - Versión en español N° 1.1.1 - Fecha 27 de septiembre de 2022: V 1.1.1 (27/09/2022)</p> <p>Información Principal del Estudio y Formulario de Asentimiento Informado para padres o tutores legales de adolescentes de 13 a 17 años de edad inclusive - Argentina - Versión en español N° 1.1.2 - Fecha 01 de noviembre de 2022: V 1.1.2 (01/11/2022)</p>
--

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
GZ402671 15 mg	Comprimidos	miligramos	15 mg	1092	70 kits de tratamiento; cada kit conteniendo 36 comprimidos	1 kit contiene 1 estuche con 36 comprimidos de GZ402671 15 mg
Placebo de GZ402671 para 15 mg	Comprimidos	miligramos	0	365	35 kits de tratamiento; cada kit conteniendo 36 comprimidos.	1 kit contiene 1 estuche con 36 comprimidos de Placebo de GZ402671 15 mg
GZ402671 6 mg	Comprimidos	miligramos	12 mg	1092	100 kits de tratamiento; cada	1 kit contiene 1 estuche con 36

					kit conteniendo 36 comprimidos.	comprimidos de GZ402671 6 mg
Placebo de GZ402671 para 6 mg	Comprimidos	miligramos	0 mg	365	50 kits de tratamiento; cada kit conteniendo 36 comprimidos.	1 kit contiene 1 estuche con 36 comprimidos de Placebo de GZ402671 6 mg
Imiglucerasa	Polvo Concentrado para infusión	Unidades Internacionales	7200 UI	78	1600 kits de tratamiento; cada kit conteniendo 1 vial.	1 kit contiene 1 vial de Polvo Concentrado p/ infusión de Imiglucerasa - 400 UI

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Vaso de colección de orina (Container, sterile urine cup)	20
Prueba de embarazo en orina (TEST, HCG urine pregnancy)	50
Tiras reactivas para orinalisis (Test Strips, Urine) (Botella)	10
Toallitas estériles de alcohol, 70%, paquete (Pads, Alcohol Prep, 70%)	20
Manual de Laboratorio	3
Sinopsis en Hoja Laminada (Laminated Synopsis)	3
Vías para aplicación IV de PE (Tubing)	100
Filtros de 0,2 micrones de PES o nylon (0.2 µm In-line filter)	100

Tubo de 2 ml con EDTA (TUBE, 2ML, K2EDTA, LAVENDER TOP,)	50
Rejilla para tubos (RACK (STAND) to go with SED.RAT)	10
Kit Hisopo/Escobillon bucal (Buccal Swat Kit, w/ 4 Swabs, STE)	30
Solución de Etanol 70% 60ML Transfer Vial W/30ML 70% Solution (DG)	50
Vial de Formalina 10%-60ML Transfer W/30ML Formalin W/Click Cap	50
Tubo de 100 uL, solucion en agua (12% TWEEN 20 ALIQUOT TUBE, 100uL)	150
Tubo de 4 ml (TUBE, 4ML, SST, GOLD TOP, 13X100)	150
Tubo de 5 ml (TUBE, PLASTIC, 5ML, SST II, YELL)	150
Tubo de 5 ml (TUBE, 5ML, FALSE BOTTOM, CLEAR,)	150
Tubo de 10 ml (TUBE, 10ML, SERUM, RED TOP, 16X1)	150
Tubo de 2.7 ml con citrato de sodio (BLUE TOP TUBE, PLASTIC, 2.7ML, 1)	150
Tubo de 6 ml con EDTA (TUBE, 6ML, K2EDTA, LAVENDER TOP,)	150
Tubo de 2.5 ml (2.5 ML SST, BLOOD COLLECTION TUB)	150
Bolsa de plastic (BAG WITH DRY MOP)	500
Tablet con cables de conexión, energía eléctrica, manual de uso y guías rápidas de uso (incluye Módem y WIFI)	2
Cable conexión energía eléctrica para Argentina	2
Electrodos	500

ECG con cables de conexión al paciente, cable conexión USB, cable conexión energía eléctrica y telefónica, manual de uso y guías rápidas de uso	2
Papel para Electrocardiógrafo (ECG Recording Paper)	10
Lectora de Tarjeta de memoria (Flashcard Reader)	2
Memoria USB o similar (SDHC Card)	2
Dispositivo calibrador Phantom (Large Phantom)	2
Caja para transporte del Dispositivo calibrador Phantom (Large Phantom)	2
Termómetro digital Datalogger con registro de temperatura (TMD)	50
Kits de Laboratorio (Lab collection kits for clinical trials)	400

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 BIOLOGICAS			
Tipo de Muestra	Destino	Origen	País
sangre, suero, orina	LabCorp CENTRAL LABORATORY SERVICES L.P. 8211 SciCor Drive Indianapolis, IN Estados Unidos	Argentina	Estados Unidos

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001131-22-5.

mm