

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

BUENOS AIRES, **02 DE SEPTIEMBRE DE 2014.-**

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000216-13-2, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

### CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Shire Human Genetic Therapies, Inc, representado en Argentina por Shire Human Genetic Therapies, S.A., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: ESTUDIO MULTICÉNTRICO CONTROLADO, ALEATORIZADO, DE DOS RAMAS, A ETIQUETA ABIERTA Y CON EVALUADOR A CIEGAS PARA EVALUAR IDURSULFASA-IT INTRATECAL ADMINISTRADA CONJUNTAMENTE CON ELAPRASE® EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON SÍNDROME DE HUNTER Y CON DETERIORO COGNITIVO TEMPRANO. Protocolo HGT-HIT-094 Enmienda 2 del 16 de diciembre de 2013 y Carta del patrocinador con fecha del 12 de marzo de 2014.

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 el modelo de consentimiento informado para el paciente, han sido aprobados por el Comité de Ética detallado en el Anexo I de la presente Disposición.

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

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 del investigador y su equipo en el centro propuesto, juntamente con sus antecedentes profesionales.

Que el informe del Departamento de Farmacología, INAME, (obrante en el adjunto del 27/01/2014 07:36:12 P.M. - INFORME ACEPTACION INAME DIRECCION.PDF), resulta favorable.

Que el informe técnico del Departamento de Evaluación de Medicamentos, INAME, y la intervención de la Dirección de Tecnología Médica (obrantes en el adjunto del 30 de julio de 2014), resultan favorables.

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 del Decreto N° 1271/13.

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

Por ello;

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

#### DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma Shire Human Genetic Therapies, Inc, representado en Argentina por Shire Human Genetic Therapies, S.A., a realizar el estudio clínico denominado: ESTUDIO MULTICÉNTRICO CONTROLADO, ALEATORIZADO, DE DOS RAMAS, A ETIQUETA ABIERTA Y CON EVALUADOR A CIEGAS PARA EVALUAR IDURSULFASA-IT INTRATECAL ADMINISTRADA CONJUNTAMENTE CON ELAPRASE® EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON SÍNDROME DE HUNTER Y CON DETERIORO COGNITIVO TEMPRANO. Protocolo HGT-HIT-094 Enmienda 2 del 16 de diciembre de 2013 y Carta del patrocinador con fecha del 12 de marzo de 2014, que se llevará a cabo en el centro y a cargo del investigador que se detalla en el Anexo I de la presente Disposición.

ARTICULO 2º.- Apruébase el modelo de consentimiento informado: Argentina\_Formulario de Consentimiento Informado para padres\_Español\_v3.1\_25Jun2014, (obrante en el adjunto del 10/07/2014 09:20:44 A.M. - RESPUESTA DE OBJECION.PDF).

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

## DISPOSICIÓN N° 6260



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 Shire Human Genetic Therapies, S.A. quien conducirá el ensayo clínico en la República Argentina, quedará

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

sujeta a la citada normativa, asumiendo todas las responsabilidades que corresponden al patrocinador en materia administrativa, contravencional y civil.

ARTICULO 8º.- Establécese que forma parte de la presente autorización la Carta del patrocinador con fecha del 12 de marzo de 2014 en la que cual manifiesta que arbitrará los medios para la provisión de la terapia estándar en caso de que el paciente presente dificultades en la obtención de la misma.

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

Expediente N° 1-0047-0002-000216-13-2.

DISPOSICION N°



CHIALE Carlos Alberto  
Administrador Nacional  
ANMAT  
Ministerio de Salud

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

### ANEXO I

- 1.- PATROCINANTE: Shire Human Genetic Therapies, Inc, representado en Argentina por Shire Human Genetic Therapies, S.A.
- 2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: ESTUDIO MULTICÉNTRICO CONTROLADO, ALEATORIZADO, DE DOS RAMAS, A ETIQUETA ABIERTA Y CON EVALUADOR A CIEGAS PARA EVALUAR IDURSULFASA-IT INTRATECAL ADMINISTRADA CONJUNTAMENTE CON ELAPRASE® EN PACIENTES PEDIÁTRICOS CON SÍNDROME DE HUNTER Y CON DETERIORO COGNITIVO TEMPRANO. Protocolo HGT-HIT-094 Enmienda 2 del 16 de diciembre de 2013 y Carta del patrocinador con fecha del 12 de marzo de 2014.
- 3.- FASE DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA: II/III.
- 4.- CENTROS PARTICIPANTES, INVESTIGADORES, COMITÉS DE ÉTICA Y CONSENTIMIENTOS INFORMADOS ESPECÍFICOS:

Información del investigador y del centro de investigación	
Nombre del investigador	Dr. Hernán Amartino
Nombre del centro	Hospital Universitario Austral
Dirección del centro	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar, B1629ODT, Buenos Aires
Teléfono/Fax	(0230) 4482831
Correo electrónico	Hernan.amartino@gmail.com
Nombre del CEI	Comité Institucional de Evaluación
Dirección del CEI	Av. Juan Domingo Perón 1500, Derqui, Pilar, B1629ODT, Buenos Aires

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

### 5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

Fármaco del estudio	Forma farmacéutica	Posología	Cantidad
Iduronato-2-sulfatasa humana recombinante para administración intratecal viales	10 mg/ml (1 ml)	10 mg/ml (1 ml) Una vez al mes.	146

### 6.- INGRESO DE MATERIALES:

Detalle	Cantidades
Kit para la visita de selección	10
Kit para la semana 2/Previa a la cirugía	7
Kit para la semana 2/Cirugía	7
Kit para la semana 4/Previa al tratamiento	10
Kit para la semana 4/Inyección IT	7
Kit para la semana 8	7
Kit para la semana 12	7
Kit para la semana 16/Previa al tratamiento	10
Kit para la semana 16/Inyección IT	7
Kit para la semana 20	7
Kit para la semana 24/Inyección IT	7
Kit para la semana 28/Previa al tratamiento	10
Kit para la semana 28/Inyección IT	7
Kit para la semana 32	7
Kit para la semana 36	7
Kit para la semana 40/Previa al tratamiento	7
Kit para la semana 40/Inyección IT	7
Kit para la semana 44	7
Kit para la semana 48/Inyección IT	7
Kit para la semana 52/Final del estudio (End of Study, EOS)	10
Kit para repetir la prueba	10
Tubos EDTA con tapa de color púrpura para estudios de ADN	10

## DISPOSICIÓN N° 6260



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

Otros materiales - Solicitud de aprobación de importación el:

Detalle	Cantidad
Escalas Bayley de Desarrollo Infantil (Bayley Scales of Infant and Toddler Development, BSID), 3.a edición, el kit incluye: Manual de administración, manual técnico, formulario de registro cognitivo, motriz y del lenguaje, paquete de 25, libro de estímulos, libro de imágenes, set de materiales manipulables, cuestionario de conducta adaptativa y socioemocional, paquete de 25, formulario de informe del cuidador, paquete de 25, estuche con ruedas y un DVD de administración esencial.	1 unidad
Reabastecimiento de los componentes de las BSID	
Manual de administración	1
Set de manipulables	2
25 x Formularios de registro	3
Escalas de habilidad diferencial (Differential Ability Scales, DAS-II), 2.a edición, el kit incluye: Manual de administración, manual técnico, tablas de datos normativos, 15 formularios de registro para preescolar, 15 formularios de registro para edad escolar, 10 de cada folleto de velocidad para procesar información, Versiones A, B, y C, cuatro libros de estímulos, tarjeta para recordar objetos, tarjetas para reconocer imágenes similares, CD de proceso fonológico y frases por signos, materiales manipulables y asistente para evaluaciones.	1 unidad
Reabastecimiento de componentes de DAS-II	
Manual de administración	1
Set de manipulables	2
15 x Formularios de registro para preescolar	3
Escalas Vineland de conducta adaptativa (Vineland Adaptive Behavior Scales, VABSII), 2.a edición, el kit básico de entrevistas ampliado incluye: 10 folletos ampliados para registrar las entrevistas, 10 informes para padres y un manual	1 unidad
Reabastecimiento de componentes de VABSII	
Manual de administración	1
25 x Formularios ampliados para encuestas por entrevistas	3
Puerto de acceso SOPHA-PORT® Mini S implantable, medular, mini desprendible, Código	14 unidades



## DISPOSICIÓN N° 6260



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

9018.321000	
Pasador de catéter Phoenix Neuro descartable: Código 9018.321000, pasador de catéter descartable con vaina, 30 cm de largo	14 unidades
Kit conteniendo: 2 viales con solución de cloruro de sodio (Na CL), 7 jeringas, 5 agujas hipodérmicas, 1 vial de vidrio vacío, 1 tapa con punta tipo Leur, 1 filtro PVDF 33 mm, 1 conector estéril CLAVE, 1 agarradera. Lote: Código: 2501.0099.	81 unidades
Carpetas para pacientes	5

### 7.- ENVÍO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

TIPOS DE MUESTRAS	DIRECCIÓN DEL DEPÓSITO O LABORATORIO
Pruebas genéticas	Greenwood Genetic Center, 106 Gregor Mendel Circle, Greenwood, Carolina del Sur, 29646, EE. UU.
Muestras de sangre, orina y LCR (líquido cefalorraquídeo)	Covance, Central Laboratory Services 8211 SciCor Drive Indianápolis, IN 46214, EE.UU.

Expediente N° 1-0047-0002-000216-13-2.

DISPOSICION N°