



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

DISPOSICIÓN Nº **6 1 5 5**

BUENOS AIRES, **1 2 SEP 2011**

VISTO el Expediente Nº 1-0047-0000-006055-11-3, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma INC Research Argentina S.A. en representación de BioMarin® Pharmaceutical Inc., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: "Estudio de evaluación clínico multinacional, de fase 3, aleatorizado, a doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y seguridad de BMN 110 a una dosis de 2,0 mg/kg/semana de por medio en pacientes con mucopolisacáridosis IVA (síndrome de Morquio A)". Protocolo MOR-004 A1 de fecha 10 de Junio de 2010, con Enmienda 1 del 4 de octubre de 2010.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria, documentación y materiales y enviar material biológico a USA.

ESP
A



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

DISPOSICIÓN Nº **6 1 5 5**

Que el protocolo y los modelos de consentimiento informado para el paciente versión general, han sido aprobado 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 de los centros donde se llevarán a cabo, adjuntándose la nota compromiso del investigador y su equipo en cada uno de los centros propuestos, juntamente con sus antecedentes profesionales.

Que a fojas 688-712 obra el informe técnico favorable de la Dirección de Evaluación de Medicamentos.

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 Nº 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 Nº 1490/92 y del Decreto Nº 425/10.

CEP
SS
R



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

DISPOSICIÓN N° 6155

Por ello;

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

DISPONE:

ARTICULO 1º.- Autorízase a la firma INC Research Argentina S.A. en representación de BioMarin® Pharmaceutical Inc, a realizar el estudio clínico denominado: "Estudio de evaluación clínico multinacional, de fase 3, aleatorizado, a doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y seguridad de BMN 110 a una dosis de 2,0 mg/kg/semana de por medio en pacientes con mucopolisacáridosis IVA (síndrome de Morquio A)". Protocolo MOR-004 A1 de fecha 10 de Junio de 2010, con Enmienda 1 del 4 de octubre de 2010, que se llevará a cabo en los centros y a cargo del investigador que se detallan en el Anexo I de la presente Disposición.

ARTICULO 2º.- Apruébanse los modelos de consentimiento informado: Formulario de Consentimiento del Sujeto y Hoja de Información para el Paciente, para padres, madres y tutores legales, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011, obrante de fojas 498 a fojas 518. Formulario de Consentimiento del paciente y Hoja de Información para el Paciente Adulto, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011, obrante a fojas 532-

CEP
R



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

DISPOSICIÓN N° 6 1 5 5

551, Formulario de Asentimiento del Sujeto y Hoja de Información para niños de 14 a 17 años de edad, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011, obrante a fojas 519-531. Formulario de Asentimiento del Sujeto y Hoja de Información para niños de 7 a 13 años de edad, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011, obrante a fojas 425 a 429.

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de la medicación, documentación 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° 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 caer por dicho transporte.

edp
js
g



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

DISPOBICIÓN N° **6 1 5 5**

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.- 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° 1-0047-0000-006055-11-3

DISPOSICION N°

6 1 5 5

Id

W. Orsinger
DR. OTTO A. ORSINGER
SUB-INTERVENTOR
A.N.M.A.T.

60/11
R



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

6 1 5 5

ANEXO I

- 1.- PATROCINANTE: INC Research Argentina S.A. en representación de BioMarin® Pharmaceutical Inc
- 2.- TÍTULO DEL PROTOCOLO: "Estudio de evaluación clínico multinacional, de fase 3, aleatorizado, a doble ciego y controlado con placebo para evaluar la eficacia y seguridad de BMN 110 a una dosis de 2,0 mg/kg/semana de por medio en pacientes con mucopolisacáridosis IVA (síndrome del Morquio A)". Protocolo MOR-004 A1 de fecha 10 de Junio de 2010, con Enmienda 1 del 4 de octubre de 2010.
- 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	Dr. Norberto Bernardo Guelbert
Nombre del centro	Hospital de Niños de la Santísima Trinidad
Dirección del centro	Ferrovianos 1250, Córdoba (5014), Córdoba, Argentina / Ferrovianos S/N, final playón de estacionamiento del Hospital de Niños, Córdoba, Córdoba, Argentina (en este centro se realizarán todos los procedimientos salvo las infusiones EV a pacientes mayores de 16 años)
Teléfono/Fax	Tel: (0351) 458 6473 / (0351) 15 331 9358

CEP
R



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

6 1 5 5

Correo electrónico	nguelbert@arnet.com.ar
Nombre del CEI	C.I.E.I.S. del Niño y del Adulto – Polo Hospitalario
Dirección del CEI	Bajada Pucará S/N – Córdoba (5000) – Córdoba, Argentina
Nº de versión y fecha del consentimiento	<ul style="list-style-type: none">• Formulario de Consentimiento del Sujeto y Hoja de Información para el Paciente, para padres, madres y tutores legales, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011• Formulario de Consentimiento del Paciente y Hoja de Información para el Paciente Adulto, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011• Formulario de Asentimiento del Sujeto y Hoja de Información para niños de 14 a 17 años de edad, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011• Formulario de Asentimiento del Sujeto y Hoja de Información para niños de 7 a 13 años de edad, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011

Información del investigador y del centro de investigación	
Nombre del investigador	Dr. Norberto Bernardo Guelbert
Nombre del centro	Instituto Oncológico Prof. Dr. José M. Urrutia
Dirección del centro	Ferrovianos s/n Final del playón de estacionamiento del Hospital de Niños de la Santísima Trinidad- Córdoba, Córdoba, Argentina (solamente se realizarán en este centro las infusiones EV en pacientes mayores a 16 años)
Teléfono/Fax	Tel: (0351) 458 6473 / (0351) 15 331 9358
Correo electrónico	nguelbert@arnet.com.ar
Nombre del CEI	C.I.E.I.S. del Niño y del Adulto – Polo Hospitalario
Dirección del CEI	Bajada Pucará S/N – Córdoba (5000) – Córdoba,

cep
25



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

6155

	Argentina
Nº de versión y fecha del consentimiento	<ul style="list-style-type: none"> Formulario de Consentimiento del Sujeto y Hoja de Información para el Paciente, para padres, madres y tutores legales, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011 Formulario de Consentimiento del Paciente y Hoja de Información para el Paciente Adulto, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011 Formulario de Asentimiento del Sujeto y Hoja de Información para niños de 14 a 17 años de edad, versión para Argentina 1.1 del 24 de Mayo de 2011

5.- INGRESO DE MEDICACIÓN:

Nombre de la Droga	Forma Farmacéutica	Concentración	Cantidad
BMN-110 o Placebo relacionado a el BMN-110	Vial conteniendo 5mL de solución opaca de BMN-110 o Placebo	1 mg/mL o placebo	1.152 cajas conteniendo 15 ampollas cada una (17.280 ampollas de BMN-110 o Placebo)

6.- INGRESO DE MATERIALES:

Cantidad	Unidad	Descripción
210	Bolsa	Kits de laboratorio
135	C/U	Tapa para Colector de Orina
6	25/pqt	Copas para orina 190 ml (14955112) - ThermoFisher
50	c/u	Formas de Información del Paciente - Quest Diagnostics

GEP
8



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

6 1 5 5

5	C/U	Información de contactos y envío
5	c/u	Manual del Laboratorio & SSS - Quest Diagnostics
20	c/u	Gel Wraps - Sachets aislantes (BM08616SB) - Inmark

10	4/caja	Cajas Quest para congelados (BM15QSTF) - INMARK
5	4/caja	Caja, para transporte combinado ambiente/congelado
10	6/caja	Cajas Quest para temp. ambiente (BM15QSTA) - INMARK

7.- INGRESO DE DOCUMENTACIÓN:

Detalle	Cantidad
Manual de para imágenes de Rayos X (X-ray Imaging and submission guidelines)	3
Tarjetas para pacientes	30

8.- ENVÍO DE MATERIAL BIOLÓGICO:

Tipo de Muestra	Destino
Sangre entera (Temp. Ambiente)	Quest Diagnostics Clinical Trials (US)- 27027 Tourney Road Valencia, CA 91355 USA
Suero (Temp. Ambiente)	Quest Diagnostics Clinical Trials (US)- 27027 Tourney Road Valencia, CA 91355 USA Or Quest Diagnostics Nichols Institute 33608 Ortega Highway

Cep
g



"2011 - Año del Trabajo Decente, la Salud y Seguridad de los Trabajadores".

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

	San Juan Capistrano, CA 92675-2042 USA
Orina (Temp. Ambiente)	Quest Diagnostics Clinical Trials (US)- 27027 Tourney Road Valencia, CA 91355 USA
Suero (Congelado)	Quest Diagnostics Clinical Trials (US)- 27027 Tourney Road Valencia, CA 91355 USA Or BioMarin Pharmaceutical Inc., BioAnalytical Testing Attn: Dawn Devereaux 105 Digital Drive Novato, CA 94949, USA
Plasma (Congelado)	BioMarin Pharmaceutical Inc., BioAnalytical Testing Attn: Dawn Devereaux 105 Digital Drive Novato, CA 94949, USA
Orina (Congelada)	BayBio Analytical Laboratory 551A Linus Pauling Drive Hercules, CA 94547, USA

Expediente Nº 1-0047-0000-006055-11-3

DISPOSICION Nº

Id

6155

W. Orsinger

cep
H

Dr. OTTO A. ORSINGER
SUB-INTERVENTOR
A.N.M.A.T.