



**República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional**  
Las Malvinas son argentinas

**Disposición**

**Número:**

**Referencia:** 1-0047-0002-001011-21-9.

---

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001011-21-9, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

**CONSIDERANDO:**

Que por las presentes actuaciones la firma Freeline Therapeutics LTD®, representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Estudio abierto de fase I/II, para evaluar la seguridad, tolerabilidad y eficacia de FLT201 en pacientes adultos con enfermedad de Gaucher de tipo 1 (GALILEO-1), Protocolo FLT201-01 V V.3.0 del 25/10/2021 con adenda al Protocolo versión 2.0 de fecha 27/01/2022, cartas compromiso versión 1.0 de fecha 12/08/2021, y carta compromiso de fecha 28/09/2021. Producto de Investigación. Vector de virus adenoasociado serotipo S3 que contiene un casete de expresión con codones optimizados que codifica la variante beta-glucocebrosidasa humana.

Que a tal efecto solicita autorización para ingresar al país la droga necesaria, documentación 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, (DERM-INAME) 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 Freeline Therapeutics LTD® representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: Estudio abierto de fase I/II, para evaluar la seguridad, tolerabilidad y eficacia de FLT201 en pacientes adultos con enfermedad de Gaucher de tipo 1 (GALILEO-1), Protocolo V V.3.0 del 25/10/2021 con adenda al Protocolo versión 2.0 de fecha 27/01/2022, cartas compromiso versión 1.0 de fecha 12/08/2021, y carta compromiso de fecha 28/09/2021. Producto de Investigación. Vector de virus adenoasociado serotipo S3 que contiene un casete de expresión con codones optimizados que codifica la variante beta-glucocerebrosidasa humana.

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 informado	
Nombre del investigador	Norberto Bernardo Guelbert
Nombre del centro	Clínica Universitaria Reina Fabiola
Dirección del centro	Oncativo 124
Teléfono/Fax	(0351) 414 2121
Correo electrónico	nguelbert@gmail.com
Nombre del CEI	Comité Institucional de Etica en Investigacion en Salud (CIEIS) de la Clínica Universitaria Reina Fabiola (CIEIS Fabiola)
Dirección del CEI	Jacinto Ríos 554 - Piso 8° - Oficina 3; Córdoba; Argentina

N° de versión y fecha del consentimiento	FCI Principal para Argentina: V 2.0.1 Especifico para Dr.Guelbert_Centro # 2201 ( 03/03/2022 )
--	--

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
Metilprednisolona	Polvo y solvente para solución para inyección/infusión	miligramos	Hasta 1000 mg	1	18 viales de polvo + vial de solvente	1 vial por 1000 MG + 1 ampolla de solvente por 15.6 ML
Tacrolimus	Capsula liberacion prolongada	de miligramos	Dependiendo el peso del paciente	1	10 blister que contienen 50 unidades de 0.5 mg, 10 blister packs que contienen 50 unidades de 1 mg; 10 blister packs que contienen 50 unidades	Blister pack que contienen 50 unidades

					de 5 mg	
Prednisolona	Comprimido Oral	miligramos	1 mg/kg/day por paciente	1	10 blisters que contienen 28 unidades de 2.5 mg; 35 blister que contienen 28 unidades de 5 mg; 70 blister que contienen 28 unidades de 10 mg	Blister que contiene 28 unidades
FLT201	Solucion Infusion para	mililitros	1.1x10(exp 13) vg/kg	1	450 viales	5 mL (volumen extractible) en 10 mL Crystal Zenith® vials.

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
DEXA/MRI Phantom device	2
Material impreso	200

Tablet con accesorios	3
Smartphone con accesorios	3
Bulk Supplies	290
Data Logger -20	10
Data Logger -80	10
Freezer -80	2
Freezer -20	2
USB	50
CD	100
WiFi USB stick	2
Bulk Material para ECG	1
Bulk Equipo de proteccion personal	30
Bomba de Infusion	10
Jeringa de infusion y material relacionado a la infusion	10
Bolsa de traslado y antiderrame	3
Kits de Laboratorio	200
Test de Embarazo	3

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 BIOLÓGICAS			
Tipo de Muestra	Destino	Origen	País
Muestras AAVS-3	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	Argentina	Estados Unidos
Materia fecal	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	Argentina	Estados Unidos
Semen	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	Argentina	Estados Unidos
Saliva	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	Argentina	Estados Unidos
Orina	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	Argentina	Estados Unidos
Suero	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	Argentina	Estados Unidos
Sangre	Precision for Medicine, Inc. 8425 Precision Way , Suite M, Frederick 21701 Maryland, United States	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 ANMAT N° 6677/10.

ARTICULO 7°.- Establécese que de acuerdo a lo dispuesto en el punto 3.11, Sección C, Anexo 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 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 8°.- Establécese la obligación del Patrocinador y del Investigador Principal de cumplir con lo estipulado en las cartas compromiso versión 1.0 de fecha 12/08/2021, y carta compromiso de fecha 28/09/2021. Los sujetos enrolados en el estudio sólo se infundirán en la Clínica Universitaria Reina Fabiola. Previo a la infusión del producto de investigación se realizará un doble chequeo para verificar que se hayan respetado las temperaturas requeridas por protocolo así como todas las demás condiciones de almacenamiento, y que la preparación para la infusión del producto de investigación sea la adecuada. Este procedimiento será realizado por el investigador principal y el subinvestigador o la persona designada autorizada de acuerdo con el protocolo y el manual farmacéutico, y se reflejará en la historia clínica del paciente del estudio. Se establece asimismo la obligación de que todo el personal que realice procedimientos del estudio en el domicilio de los pacientes estará delegado, capacitado y adecuadamente supervisado por el investigador principal. Dichos procedimientos deberán documentarse y estar debidamente archivados. El centro de investigación deberá contar con procedimientos operativos estándar por escrito que describan estrategias para reducir la propagación de la COVID-19 y para aumentar la protección del personal de salud y de los participantes del ensayo clínico.

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001011-21-9.