



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
AÑO DE LA DEFENSA DE LA VIDA, LA LIBERTAD Y LA PROPIEDAD

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001581-24-3.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001581-24-3, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Horizon Therapeutics Ireland DAC, representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: ESTUDIO DE FASE 2, ALEATORIZADO, DOBLE CIEGO, CONTROLADO CON PLACEBO SOBRE LA EFICACIA Y LA SEGURIDAD DE LA INYECCIÓN SUBCUTÁNEA DE DAXDILIMAB EN PARTICIPANTES ADULTOS CON DERMATOMIOSITIS O MIOSITIS INFLAMATORIA ANTISINTETASA CONTROLADA DE FORMA INADECUADA, Protocolo HZNP-DAX-205 V v1.0 del 27/07/2022 con HZNP-DAX-205_Memorándum de aclaración de protocolo n.º 1_11-ENE-2023, con Carta compromiso de la prueba de embarazo firmada por el patrocinador con fecha 15 de agosto de 2023, Carta compromiso v1.0 del 05 de marzo de 2024 sobre requisito de medicación previa al estudio (criterio de inclusión 6), y sobre el requisito de tratamiento profiláctico para TBC latente diagnosticada en el periodo de selección. Carta compromiso de fecha 13 de marzo de 2024 sobre aclaración al protocolo acerca del punto 6.9.3 - Tratamiento de rescate.

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 Investigación Clínica y Gestión del Registro de Medicamentos, (DERM-INAME) resulta favorable.

Que la referida Dirección 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 la Dirección de Asuntos Jurídicos ha tomado la intervención de su competencia.

Que se actúa en virtud a las facultades conferidas por el Decreto N° 1490/92 y sus modificatorios.

Por ello;

LA ADMINISTRADORA NACIONAL DE LA ADMINISTRACION NACIONAL DE

MEDICAMENTOS, ALIMENTOS Y TECNOLOGÍA MÉDICA

DISPONE:

ARTICULO 1°.- Autorízase a la firma Horizon Therapeutics Ireland DAC representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: ESTUDIO DE FASE 2, ALEATORIZADO, DOBLE CIEGO, CONTROLADO CON PLACEBO SOBRE LA EFICACIA Y LA SEGURIDAD DE LA INYECCIÓN SUBCUTÁNEA DE DAXDILIMAB EN PARTICIPANTES ADULTOS CON DERMATOMIOSITIS O MIOSITIS INFLAMATORIA ANTISINTETASA CONTROLADA DE FORMA INADECUADA, Protocolo V v1.0 del 27/07/2022 con HZNP-DAX-205_Memorándum de aclaración de protocolo n.º 1_11-ENE-2023, con Carta compromiso de la prueba de embarazo firmada por el patrocinador con fecha 15 de agosto de 2023, Carta compromiso v1.0 del 05 de marzo de 2024 sobre requisito de medicación previa al estudio (criterio de inclusión 6), y sobre el requisito de tratamiento profiláctico para TBC latente diagnosticada en el periodo de selección. Carta compromiso de fecha 13 de marzo de 2024 sobre aclaración al protocolo acerca del punto 6.9.3 - Tratamiento de rescate.

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	del Dra. Graciela Nora Rodriguez
Nombre del centro	Framingham Centro Médico
Dirección del centro	Calle 9 N° 431 e/ 40 y 41, B1902COS
Teléfono/Fax	(0221) 483 5656

Correo electrónico	granora777@gmail.com
Nombre del CEI	Comité de Etica en Investigación Framingham
Dirección del CEI	Calle 9 N° 431 e/40 y 41, B1902COS La Plata, Pcia. de Buenos Aires, Argentina
N° de versión y fecha del consentimiento	Argentina_Español_FCI principal_v2.1.1_13-mar-2024_Específico para la Dra. Rodriguez_Centro n. °: AR326_Con cambio administrativo 1: V v2.1.1_Cambio administrativo 1 (13/03/2024) Argentina_FCI en Español_Pareja Embarazada y Recién Nacido_v1.0.1_27-nov-2023_Específico para la Dra. Rodriguez_Centro n.°: AR-326_Con cambio administrativo 2: V v1.0.1_Con cambio administrativo 2 (27/11/2023)

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
Daxdilimab - supplied as 2R vial with nominal 1 mL of 100 mg/mL daxdilimab containing 20mM L-histidiDaxdilimab - suministrado como vial 2R con 1 mL nominal de 100 mg/mL de daxdilimab conteniendo 20mM L-histidina/L-histidina HCL, 240 mM sacarosa,	Vial con 1mL de 100 mg/mL de daxdilimab	mg/mL	Cada dosis utiliza 3 viales para preparar 300 mg de Daxdilimab	12	218	Cada caja contiene 3 viales de daxdilimab 100mg/mL o 1 mL de placebo

0.02% (p/v) polisorbato 80, pH 6.0						
Placebo - suministrado como vial 2R con 1 mL nominal de 20 mM L-histidina/L- histidina HCL, 240 mM sacarosa, 0.02% (p/v) polisorbato 80, pH 6.0	Vial con 1mL de placebo	mililitros	Cada dosis utiliza 3 viales de placebo	6	99	Cada caja contiene 3 viales de placebo 1mL/vial
Daxdilimab, 100 mg/ml, 1 ml/vial or placebo, 1 ml/vial.	Vial con 1mL de 100 mg/mL de daxdilimab o 1 mL de placebo	mg/mL	Cada dosis utiliza 3 viales de Daxdilimab o placebo	12	317	Cada caja contiene 3 viales de daxdilimab 100mg/mL o 1 mL de placebo

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Refrigerator / Refrigerador	6
Centrifuge / Centrifuga	6
Stadiometer / estadiometro	6
12 Lead ECG machine / Máquina de ECG de 12 derivaciones	6
Sphygmomanometer / Sphygmomanometer	6
Thermometer / Termometro	6

Min/max thermometer (for room or refrigerator) / Termómetro mín/máx (para habitación o refrigerador)	6
Incubator / Incubadora	6
Data logger / Registrador de datos	6
Freezer / Congelador	6
Tablet + accessories / Tableta electronica y accesorios	12
Stylus pen / Lapiz optico	12
Smartwatches / reloj inteligente	18
Bulk supplies / suministros a granel	892
Pregnancy test kit / kit de prueba de embarazo	255
DxTerity-Kit / Kit DxTerity	127
Box-Combo Ambient/Refrigerated Shipper / caja transportadora	1000
Box-Frozen Shipper / caja transportadora congelada	1000
Collection Flow Chart / Diagrama de flujo de colección	30
Gel Pack-Ambient Shipper Gel Wrap White/Clear	3000
Lab Manual / manual de laboratorio	30
Scanner / escaner	12
Urine Cup W/Lid / Taza de orina con tapa	300

Weight scale / Escala de peso	6
Height Scale / escala de altura	6
Universal Power Adaptor / adaptador universal	36
Biohazard bag / Bolsa de riesgo biológico	600
Thermal ambient carton / Cartón térmico ambiental	300
Investigator Manual English / manual del investigador	30
Summary/Collection guide / Resumen/Guía de recogida	30
Transfer pipette / pipeta de transferencia	600
Lab Certificate / certificado de laboratorio	30
Charger / Cargador	12
Solution-Ethanol 60ML Transfer Vial W/30ML 70% Solution / Solución: vial de transferencia de 60 ml de etanol con solución de 30 ml al 70 %	300
Molecular Mailer Kit	300
Printer material / material impreso	400
Lab kits / Kits de laboratorio	900

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
Sangre	ICON development solutions 123 Smith Street Farmingdale New York 11735 US	Argentina	Estados Unidos
Sangre, orina, opcional tejido cutáneo/muscular	PPD Laboratories 2 Tesseneer Drive Highland Heights KY 41076 USA	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°.- Establecese la obligación por parte del patrocinador y del investigador principal de cumplir con lo estipulado en las siguientes tres cartas compromiso: 1. Carta compromiso de la prueba de embarazo, firmada por el patrocinador con fecha 15 de agosto de 2023, que establece: Todos los centros situados en Argentina deben garantizar que, de acuerdo con la normativa local, el investigador principal se asegurará de que se realicen de forma periódica (en cada ciclo menstrual) las pruebas de embarazo en pacientes mujeres con potencial de quedar embarazadas (como se define en el protocolo del estudio) desde su inicio en el estudio hasta al a menos 6 meses después de la última administración del medicamento en investigación o el final del estudio, lo que sea más largo. El patrocinador reembolsará al centro por las pruebas embarazo realizadas fuera del calendario de evaluaciones definido en el protocolo. 2. Carta compromiso v1.0 del 05 de marzo de 2024, que establece en relación con los siguientes puntos: a) Acerca del criterio de inclusión 6, para poder formar parte del estudio, todos los candidatos (especialmente aquellos pacientes que al momento del ingreso al estudio no se encuentren recibiendo tratamiento de base debido a intolerancia o falla a terapias anteriores según criterio de inclusión 6 “b”), deberán haber agotado todas las instancias previas de líneas de tratamiento recomendadas (incluida la terapia biológica de corresponder, especialmente en el síndrome anti - sintetasa) y disponibles en nuestro país. Esto deberá quedar justificado por el investigador principal en la historia clínica del paciente” y b). Aquellos pacientes en los que se realice el diagnóstico de TBC latente en la selección, deberán cumplir al menos con 4 semanas de tratamiento profiláctico antes de recibir la primera administración de la medicación del estudio”. 3. Carta compromiso de

fecha 13 de marzo de 2024 sobre el punto Tratamiento de rescate – apartado 6.9.3 que establece lo siguiente: el punto 6.9.3 del protocolo HZNP-DAX-205 - 27/07/2022 v1.0 no será aplicable tal como se encuentra redactado, y para Argentina deberá regir que el uso de medicación de rescate será permitido para el deterioro clínico y que debe administrarse a criterio del investigador principal y sin contacto previo con el monitor médico o el patrocinador.

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001581-24-3.