



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
Las Malvinas son argentinas

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001096-22-5.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001096-22-5, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Ultragenyx Pharmaceutical Inc., representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Un estudio de fase 3 aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo de transferencia génica mediada por el virus adenoasociado de serotipo 8 (VAA8) de ornitina transcarbamilasa (OTC) humana en pacientes con deficiencia de OTC de inicio tardío, Protocolo enmienda 3 V enmienda 3 del 26/10/2021 Carta de compromiso para los centros ubicados en Argentina: Versión 1.0, 14-JUN-2022: En caso de pacientes VIH positivo, si no se cuenta con la carga viral plasmática y recuento de células CD4 +, el Patrocinador cubrirá las pruebas requeridas por el criterio, sin costo para los pacientes.

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 Ultragenyx Pharmaceutical Inc. representado en Argentina por PPD ARGENTINA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: Un estudio de fase 3 aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo de transferencia génica mediada por el virus adenoasociado de serotipo 8 (VAA8) de ornitina transcarbamilasa (OTC) humana en pacientes con deficiencia de OTC de inicio tardío, Protocolo V enmienda 3 del 26/10/2021 Carta de compromiso para los centros ubicados en Argentina: Versión 1.0, 14-JUN-2022: En caso de pacientes VIH positivo, si no se cuenta con la carga viral plasmática y recuento de células CD4 +, el Patrocinador cubrirá las pruebas requeridas por el criterio, sin costo para los pacientes.

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 1248, Córdoba, X5004FHP
Teléfono/Fax	(351) 4142121
Correo electrónico	nguelbert@gmail.com
Nombre del CEI	Comité Institucional de Ética de la Investigación 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	DTX301-CL301_Argentina_Español_FCI principal: V2.0_21ene2022: V 2.0 (21/01/2022) DTX301-CL301_Argentina_Español_FCI para adolescentes de 13 a 17 años: V2.0_21ene2022: V 2.0 (21/01/2022) DTX301-CL301_Argentina_Español_FCI para padre/madre/tutor legal: V2.0_21ene2022: V 2.0 (21/01/2022) DTX301-CL301_Argentina_Español_Formulario de asentimiento para niños de 12 años: v 2.0 _21ene2022: V 2.0 (21/01/2022) DTX301-CL301_Argentina_Español_FCI para la pareja embarazada: v. 1.0_01Sep2021: V 1.0 (01/09/2021)

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
1 mL scAAV8 Human OTC (DTX301)	Solución para Infusión / Solution for infusion	mililitros	59 viales	1	354	Solución para Infusión / Solution for infusion
Placebo: 0.9% NaCl solution	Solution for infusion / solución infusion	mililitros	250 ml o 100 ml	1	354	Saline bags / IV bags (Bolsas de infusión)
Prednisolone or Placebo Capsules, 10 mg	10 mg Cápsulas de Prednisolona o Placebo	miligramos	60 mg/dia	218	200	Caja conteniendo 50 Cápsulas de Prednisolona o Placebo de 10 mg

Prednisolone or Placebo Capsules, 5 mg	5 mg, Cápsulas de Prednisolona o Placebo	miligramos	5mg/dia	48	75	Caja conteniendo 25 Cápsulas de Prednisolona o Placebo de 5 mg
--	--	------------	---------	----	----	--

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Tubing / Tubo	91
Y-Type Blood/Solution Set	354
IV Extension Set Clearlink, with 0,2 micron filter luer lock adapter. Non-pyrogenic, sterile, contains DEHP	354
IV Set	354
Syringe Filter / Filtro	354
Bracelets	20
Pregnancy Test / Test de embarazo	500
Wallet Card / Tarjeta de bolsillo	130
Emergency room management card	40
URT sample collection kit / Kit de recolección de muestra URT	200
URT Manual / Manual de URT	91
Pharmacy Binder / Carpetas de Farmacia	91

Pharmacy Manual / Manual de Farmacia	91
E Diaries+ Accesories / Diarios electrónicos + Accesorios	26
Tablets + accesories / Tabletas + accesorios	26
Smartphones + accesorios	26
URINE CUPS / copa para recolectar orina	500
Commode Hats	130
EDTA COLLECTION TUBES / Tubos de recolección EDTA	520
Chrome Book + accesories (ultragenix)	12
Piko set: PB 50 Piko Button	14
Response Box with USB cable	14
Accesorios para Chrome book	12
Freezer	4
Pump	8
Centrifuge / Centrífuga	4
ECG + accesorios	4
electrodes / electrodos	500
Bulk Supplies	5000

Promotional materials	5000
Lab Kits	1150

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 y Orina	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 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 por parte del Patrocinador y del Investigador Principal de cumplir con la Carta de compromiso para los centros ubicados en Argentina: Versión 1.0, 14-JUN-2022: En caso de pacientes VIH positivo, si no se cuenta con la carga viral plasmática y recuento de células CD4 +, el Patrocinador cubrirá las pruebas requeridas por el criterio, sin costo para los pacientes

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001096-22-5.