



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
1983/2023 - 40 AÑOS DE DEMOCRACIA

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001433-23-0

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001433-23-0, 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 ICON CLINICAL RESEARCH S.A., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Estudio aleatorizado de ejecución ininterrumpida de fase II/III, que consta de una fase II simple ciego de evaluación de la dosis y de una fase III doble ciego, controlada con placebo, para evaluar la eficacia y la seguridad del setrusumab en sujetos con osteogénesis imperfecta, Protocolo V Enmienda 2 del 01/09/2022 - Carta de compromiso del patrocinador, aclarando que la fase II del estudio no será realizada en Argentina y que el reclutamiento de la fase III será iniciado una vez presentada la documentación respaldatoria que justifique la selección de la dosis, de fecha 10-oct-2023.- Carta de compromiso del Investigador Principal, aclarando que el centro no realizará visitas domiciliarias, de fecha 27-sep-2023. .

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 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 ICON CLINICAL RESEARCH S.A.. a realizar el estudio clínico denominado: Estudio aleatorizado de ejecución ininterrumpida de fase II/III, que consta de una fase II simple ciego de evaluación de la dosis y de una fase III doble ciego, controlada con placebo, para evaluar la eficacia y la seguridad del setrusumab en sujetos con osteogénesis imperfecta, Protocolo V Enmienda 2 del 01/09/2022 - Carta de compromiso del patrocinador, aclarando que la fase II del estudio no será realizada en Argentina y que el reclutamiento de la fase III será iniciado una vez presentada la documentación respaldatoria que justifique la selección de la dosis, de fecha 10-oct-2023.- Carta de compromiso del Investigador Principal, aclarando que el centro no realizará visitas domiciliarias, de fecha 27-sep-2023..

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	Hamilton Raúl Cassinelli
Nombre del centro	Centro de Investigaciones Endocrinológicas “Dr. César Bergadá” (CEDIE) del Hospital de Niños “Ricardo Gutiérrez”
Dirección del centro	Gallo 1330
Teléfono/Fax	4693 5931
Correo electrónico	hcassinelli@cedie.org.ar
Nombre del CEI	Comité de Ética en Investigación del Hospital de Niños “Ricardo Gutiérrez”
Dirección del CEI	Gallo 1330, Ciudad Autónoma de Buenos Aires - Argentina

Nº de versión y fecha del consentimiento Hoja de información y formulario de consentimiento informado para padres/tutores legales: V 1.0 (09/01/2023)

Formulario de consentimiento informado para participantes de 13 a 17 años con asistencia de los padres: V 1.0 (09/01/2023)

Formulario de asentimiento para participantes de 7 a 12 años: V 1.0 (09/01/2023)

Hoja de información y formulario de consentimiento informado para participantes adultos: V 2.0 (02/10/2023)

Formulario de divulgación de información sobre la pareja embarazada: V 2.0 (02/10/2023)

ARTICULO 3º.- Autorízase el ingreso de:

a) Medicación:

INGRESO DE MEDICACIÓN

Principio activo, Forma y farmacéutica presentación	Unidad	Cantidad administrada por dosis	Numero total por paciente	Cantidad dosis Total de kits y/o envases	Presentación
Setrusumab	Polvo liofilizado para solución	miligramos 20 mg/kg	240	1500 viales	Caja conteniendo 20 viales con 160 mg de setrusumab cada uno

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR

Detalle	Importar
Electrocardiógrafo con sus cables, accesorios y fuente de poder, Wipro GE Healthcare Private Ltd. Modelo 1 MAC 2000 v1.1	
Resma papel para electrocardiografo	3
Electrodos descartables	3

Bomba de jeringa Alaris GH Plus Modelo 8002TIG03-G	2
Tablet Samsung Galaxy A13	2
Penlight Aokin Model 72-7	4
Rosenbaum Vision Screening Pocket Card Think Modelo 8542032993	4
Lente ocluser negro/rojo Elite Medical Instruments Modelo 8542032984	4
Tabla Snellen Precision Vision Modelo 2196US	2
Test sensorial de 8 elementos Sensonics International Modelo PSIT-8NH	30
Martillo reflejo Tromner LOTS OF ZEN Modelo LOZ2021	4
Medipines desechables 100 Count Patterson Medical Holdings Inc. Modelo 16326	2
ISHIHARA Libro de pruebas de visión a color con placa, Kanehara Modelo ISH-003	2
Set extensión IV 011-B2003 ICU Medical 60" (50) ICU Medical INC Modelo 011-B2003	4
Filtro de 0.2 micras ELD96LYLE Pall Posidyne positively charged (48)	4
Set con filtro de 0.2 micras V6215 B Braun (50)	4
Jeringa BD 20 ml General Purpose Luer-Lok™ (120)	4
Jeringas BD 50 ml General Purpose Luer-Lok™ (60)	4
Válvula intravenosa sin aguja 2000E BD SmartSite (50)	4
Catéter IV 381912 BD Insyte Autoguard w/Wings 24gx19mm (200)	4
Baúl para almacenamiento de juguetes con tapa	3

Libro de puzzles sudoku	1
Libro de actividades Dot 2 Dot para niños y adultos	1
Libro de laberintos para niños de 8 a 12 años	1
Pack de juguetes pop it fidget	4
Rompecabeza cubos serpiente	2
Juguete mini twist puzzle toy para niños y adolescentes (18 pack)	2
Libro para colorear por números, para niños de 8 a 12 años	1
Libro para colorear de 288 páginas	1
Packs de lápices de colores	2
Packs de crayones para colorear	2
Rompecabezas hexagonal de madera Coogam para niños y adultos	1
Kit para armar pulseras	1
Autos de juguete Hot Wheels (30 packs)	4
Juego de rompecabezas Kanoodle Genius	1
Paquetes de juguetes giratorios Wellvo Fidget Spinner (6 pack)	3
Kit de manualidades de juguete para imanes de madera	1
Pizarra blanca pequeña Vusign 8.5 x 11 pulgadas, incluye rotuladores con gomas de borrar	1
Manual de Servicios de Laboratorio	2

Kits para muestras clasificados por visita del estudio. Incluye 5 hojas laminadas y 50 etiquetas de papel. 710

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	Nordic Laboratories Nygade 6, 3 sal 1164 Copenhague, Denmark	Argentina	Dinamarca
Imagenes	Clario 211 Carnegie Center Drive Princeton, NJ 08540 USA	Argentina	Estados Unidos
Orina	Nordic Laboratories Nygade 6, 3 sal 1164 Copenhague, Denmark	Argentina	Dinamarca
Sangre	Labcorp Central Laboratory LP 8211 Scicor Drive, Indianapolis, IN 46214; PerKinElmer Genomics Adam Bennet 250 Industry Drive, Pittsburgh, PA, 15275; Informed DNA 877 Executive Center Drive West Suite 306 St. Petersburg, FL 33702	Argentina	Estados Unidos
Orina	Labcorp Central Laboratory LP 8211 Scicor Drive, Indianapolis, IN 46214	Argentina	Estados Unidos
Sangre	LGC Laboratories Queens Road, Teddington, Middlesex, TW11 0LY	Argentina	Reino Unido

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 ICON CLINICAL RESEARCH 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 e IP de cumplir con las cartas compromiso con fechas 10-oct-2023 y 27-sep-2023 que establecen que no se llevará a cabo la fase II del estudio en Argentina y que el centro Hospital de niños "Ricardo Gutiérrez" no realizará visitas domiciliarias.

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001433-23-0.

mm