



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

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001576-24-7.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001576-24-7, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma Mirum Pharmaceuticals, Inc. , representado en Argentina por Syneos Health Argentina S.A , solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: "Estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad de volixibat en el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con colangitis esclerosante primaria (VISTAS)", Protocolo VLX-301_Protocolo_V5.0_20Jul2023_Final V V5.0 del 20/07/2023 VLX-301_Argentina_Carta de compromiso_Prueba de embarazo mensual_ARG_V1.0_21Sep2023_Esp. VLX-301_Argentina_Carta de compromiso_Reclutamiento de pacientes ARG_V1.0_27Sep2023_Esp Carta de compromiso: Visitas de cuidados de la salud a domicilio en persona V 19 de marzo de 2024. .

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, (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 Mirum Pharmaceuticals, Inc. representado en Argentina por Syneos Health Argentina S.A. a realizar el estudio clínico denominado: "Estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo para evaluar la eficacia y la seguridad de volixibat en el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con colangitis esclerosante primaria (VISTAS)", Protocolo V V5.0 del 20/07/2023 VLX-301_Argentina_Carta de compromiso_Prueba de embarazo mensual_ARG_V1.0_21Sep2023_Esp. VLX-301_Argentina_Carta de compromiso_Reclutamiento de pacientes ARG_V1.0_27Sep2023_Esp Carta de compromiso: Visitas de cuidados de la salud a domicilio en persona V 19 de marzo de 2024..

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 | Gabriel Alejandro Aballay Soteras |
| Nombre del centro | Glenny Corp S.A. |
| Dirección del centro | Av Ruiz Huidobro 4693 |
| Teléfono/Fax | 45445522 |
| Correo electrónico | archie.glenny@ccbr.com |
| Nombre del CEI | Comité de Ética Saavedra (C.E.S.) |
| Dirección del CEI | Calle: Av. Ruiz Huidobro 4693 (1430), C.A.B.A. |

| | |
|------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| N° de versión y fecha del consentimiento | VLX-301_Formulario de consentimiento informado para la pareja embarazada_Argentina_Aballay Soteras_V4.1.1_04Dic2023_Esp_Final : V V4.1.1 (04/12/2023) VLX-301_ARG_Aballay_Consentimiento Informado Principal_V7.2.1_08Mar2024_Esp_Final: V V7.2.1 (08/03/2024) |
|------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|

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 |
| Volixibat | Cápsulas | miligramos | 5 o 20 mg | 520 | 2600 frascos | Frasco con 35 cápsulas (Volixibat 5 mg o 20 mg) |
| Volixibat 5 mg | Cápsulas | miligramos | 5 mg | 520 | 1300 | Frasco con 35 cápsulas Volixibat 5 mg |
| Volixibat 20 mg | Cápsulas | miligramos | 20 mg | 520 | 1300 | Frasco con 35 cápsulas Volixibat 20 mg |
| Volixibat 5 mg, 20 mg, o Placebo | Cápsulas | miligramos | 5 mg, 20 mg o placebo | 11 | 950 | Frasco con 35 cápsulas Volixibat Cápsulas, 5 mg, 20 mg, o Placebo |
| Volixibat 5 mg o placebo | Cápsulas | mililitros | 5 mg | 11 | 475 | Frasco con 35 cápsulas Volixibat 5 mg o Placebo |

| | | | | | | |
|---------------------------|----------|------------|-------|----|-----|--------------------------------------------------|
| Volixibat 20 mg o Placebo | Cápsulas | miligramos | 20 mg | 11 | 475 | Frasco con 35 cápsulas Volixibat 20 mg o Placebo |
|---------------------------|----------|------------|-------|----|-----|--------------------------------------------------|

b) Materiales:

| MATERIALES PARA IMPORTAR | |
|------------------------------------------------------------------------|----------|
| Detalle | Importar |
| Core Study Parts 1 and 2 | 432 |
| Open Label Extension | 552 |
| Pruebas de Embarazo | 168 |
| Accesorios de Aseo para recolección de materia Fecal | 120 |
| Dispositivos de recolección intestinal Omnigene | 192 |
| Tubos de recolección | 1000 |
| Bulk supplies - slide packs (2 slides per pack)/ Portaobjeto (paquete) | 500 |
| Shipping Supplies - air waybills/ Guia aerea AWB | 3056 |
| Etiquetas | 7224 |
| Facturas para envíos | 15374 |
| Etiquetas para retornos | 33159 |
| Cajas | 72749 |
| Carpetas | 10 |

| | |
|-------------------------------------|------|
| Tableta con accesorios | 10 |
| Teléfono inteligente con accesorios | 30 |
| Material Impreso | 1000 |
| Kits de Laboratorio | 1082 |

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 de Sangre | de LabCorp Central Laboratory Services LP 8211 SciCor Dr. Indianapolis, IN 46214-2985 | Argentina | Estados Unidos |
| Muestras de Orina | de LabCorp Central Laboratory Services LP 8211 SciCor Dr. Indianapolis, IN 46214-2985 | Argentina | Estados Unidos |
| Muestras de plasma | de LabCorp Central Laboratory Services LP 8211 SciCor Dr. Indianapolis, IN 46214-2985 | Argentina | Estados Unidos |
| Muestras de heces | de LabCorp Central Laboratory Services LP 8211 SciCor Dr. Indianapolis, IN 46214-2985 | 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 Syneos Health 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 Cartas Compromisos: VLX-301_Argentina_Carta de compromiso_Prueba de embarazo mensual_ARG_V1.0_21Sep2023_Esp VLX-301_Argentina_Carta de compromiso_Reclutamiento de pacientes _ARG_V1.0_27Sep2023_Esp - Carta de compromiso: Visitas de cuidados de la salud a domicilio en persona V 19 de marzo de 2024

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001576-24-7.