



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
Las Malvinas son argentinas

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-001051-22-9.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001051-22-9, del Registro de la Administración Nacional de Medicamentos, Alimentos y Tecnología Médica, y

CONSIDERANDO:

Que por las presentes actuaciones la firma BioCryst Pharmaceuticals Inc., representado en Argentina por ACTIVACRO SOCIEDAD ANONIMA, solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Un Estudio Aleatorizado, Doble Ciego, Multicéntrico, Controlado con Placebo, de Grupos Paralelos, para Evaluar la Eficacia, Seguridad y Tolerabilidad de la Monoterapia Oral BCX9930 para el Tratamiento de la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna, Protocolo BCX9930-203 V 2.0 del 27/05/2021 - Carta compromiso de fecha 13 de abril de 2022: Exclusión de Pacientes con Hemoglobinuria Paroxística Nocturna Que Cumplen los Criterios para ser Tratados con un Inhibidor de C5 para ser Enrolados en el Estudio BCX9930-203 .

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 BioCryst Pharmaceuticals Inc. representado en Argentina por ACTIVACRO SOCIEDAD ANONIMA. a realizar el estudio clínico denominado: Un Estudio Aleatorizado, Doble Ciego, Multicéntrico, Controlado con Placebo, de Grupos Paralelos, para Evaluar la Eficacia, Seguridad y Tolerabilidad de la Monoterapia Oral BCX9930 para el Tratamiento de la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna, Protocolo V 2.0 del 27/05/2021 - Carta compromiso de fecha 13 de abril de 2022: Exclusión de Pacientes con Hemoglobinuria Paroxística Nocturna Que Cumplen los Criterios para ser Tratados con un Inhibidor de C5 para ser Enrolados en el Estudio BCX9930-203.

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 Andrés Lázaro Brodsky
Nombre del centro	Organizacion Medica de Investigacion (OMI)
Dirección del centro	Uruguay 725 PB
Teléfono/Fax	43720308/43720337
Correo electrónico	albrodsky01@yahoo.com.ar
Nombre del CEI	Comité Independiente de ética para Ensayos en Farmacología Clínica -Fundación de Estudios Farmacológicos y de Medicamentos “Dr. Luis María Zieher”
Dirección del CEI	Pte. J. E. Uriburu 774 1° Piso

N° de versión y fecha del consentimiento	HOJA DE INFORMACIÓN PARA EL PACIENTE Y CONSENTIMIENTO INFORMADO PARA INVESTIGACIÓN: V 1.2 (29/03/2022)
	HOJA DE INFORMACIÓN PARA EL PACIENTE Y FORMULARIO DE CONSENTIMIENTO INFORMADO SUBESTUDIO FARMACOCINÉTICO/FARMACODINÁMICO OPCIONAL: V 1.2 (29/03/2022)
	HOJA DE INFORMACIÓN PARA EL PACIENTE Y FORMULARIO DE CONSENTIMIENTO INFORMADO ALMACENAMIENTO OPCIONAL DE MUESTRAS PARA USO FUTURO: V 1.2 (29/03/2022)
	BCX9930-203 HOJA DE INFORMACIÓN DE LIBERACIÓN DE DATOS DE LA PAREJA EMBARAZADA Y FORMULARIO DE CONSENTIMIENTO INFORMADO: V 1.3 (29/03/2022)

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 de dosis por paciente	Cantidad Total de kits y/o envases	Presentación
BCX9930	oral	miligramos	500 (2 x 250 mg)	728	10.880 (170 Frascos)	Frasco x 64 comprimidos
BCX9930 (Placebo)	Oral	miligramos	200 (2 x 250 mg)	728	5120 (80 frascos)	Frasco x 64 comprimidos

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Vacuna Trumemba (Meningococo grupo B)	10
IPads 6th Generation	7

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	LabConnect (Laboratorio Central)	Argentina	Estados Unidos
Suero	LabConnect	Argentina	Estados Unidos
Plasma	LabConnect	Argentina	Estados Unidos
Orina	LabConnect	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 ACTIVACRO SOCIEDAD ANONIMA., 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 de los Investigadores Principales que participan en los Centros en Argentina de excluir del estudio BCX9930-203 a cualquier paciente en consideración cuya enfermedad cumpla los criterios para el tratamiento con un inhibidor del complemento aprobado bajo las normas/guías vigentes nacionales o locales (Por ej. guías publicadas por la Sociedad Hematológica Argentina) al

momento de la evaluación de selección, de acuerdo a lo establecido en la Carta compromiso de fecha 13 de abril de 2022: Exclusión de Pacientes con Hemoglobinuria Paroxística Nocturna Que Cumplen los Criterios para ser Tratados con un Inhibidor de C5 para ser Enrolados en el Estudio BCX9930-203.

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

Expediente N°: 1-0047-0002-001051-22-9.