



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
2020 - Año del General Manuel Belgrano

Disposición

Número:

Referencia: 1-0047-0002-000616-20-1.

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-000616-20-1, 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 RESOLUTION LATIN AMERICA S.A., solicita autorización para efectuar el Ensayo Clínico denominado: Estudio de extensión abierto para evaluar la eficacia y seguridad a largo plazo de Maralixibat en el tratamiento de pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva (CIFP), Protocolo V 1.0 del 23/09/2019 con Anexo N°1 para Argentina de fecha 10 de enero de 2020, y Adendas N° 1 de fecha 6 de enero de 2020 y N°3 de fecha 5 de marzo de 2020. .

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 Mirum Pharmaceuticals Inc representado en Argentina por RESOLUTION LATIN AMERICA S.A. a realizar el estudio clínico denominado: Estudio de extensión abierto para evaluar la eficacia y seguridad a largo plazo de Maralixibat en el tratamiento de pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva (CIFP), Protocolo V 1.0 del 23/09/2019 con Anexo N°1 para Argentina de fecha 10 de enero de 2020, y Adendas N° 1 de fecha 6 de enero de 2020 y N°3 de fecha 5 de marzo de 2020..

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 Daniel Eduardo D'Agostino
Nombre del centro	Hospital Italiano de Buenos Aires
Dirección del centro	Tte. Gral. Juan Domingo Perón 4190
Teléfono/Fax	49590200
Correo electrónico	daniel.dagostino@hiba.org.ar
Nombre del CEI	Comite de Etica de Protocolos de Investigacion CEPI
Dirección del CEI	Juan D. Perón 4190- 4192, Departamento de Investigación, Primer Piso, escalera "J"
N° de versión y fecha	Formulario de Asentimiento, Edades 6-12 años. : V Versión Centro Especifica 2.0

del consentimiento	<p>(18mar2020) Hospital Italiano de Buenos Aires (18/03/2020)</p> <p>Formulario de Consentimiento Informado para el paciente y Formulario de Asentimiento para Padres/Cuidadores, Edades 13-17 años: V Versión Centro Especifica 2.0 Hospital Italiano de Buenos Aires (18/03/2020)</p> <p>Consentimiento de los Padres/Cuidadores de niños menores de 12 años de edad / formulario de datos del paciente: V Versión Centro Especifica 2.0 Hospital Italiano de Buenos Aires (18/03/2020)</p> <p>Hoja de Información para Participar en un Estudio de Investigación: V Versión Centro Especifica 2.0 Hospital Italiano de Buenos Aires. (18/03/2020)</p> <p>Formulario de Consentimiento Informado para la Pareja/Cónyuge Embarazada: V Versión Centro Especifica 2.0 Hospital Italiano de Buenos Aires (18/03/2020)</p>
--------------------	--

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
Cloruro de Maralixibat	Solución oral	g/kg	600 g/kg	1498	1500	Frasco conteniendo 30mL de maralixibat de 5mg/mL, 10mg/mL, 15mg/mL, 20mg/mL

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
C2525 Lab Manual - Paper	1
Nanocooler 2-8°C, Small, 72hrs Duration	110

21G Butterfly Needle	170
Sure-View Pregnancy Tests	240
Short Aliquot Box – corrugated	2
Kit Resupply Forms - paper	20
Kit Kaddy - corrugated	1
Pediatric Urine Collection Bag -Plastic	110
0.5ml Comar Oral Syringe - Plastic	16800
1.0ml Comar Oral Syringe - Plastic	16800
3.0ml Comar Oral Syringe - Plastic	16800
24mm Comar Adapter Cap - Plastic	1240
95 kPa Bag - plastic	950
Therapak Gel Insulator - plastic	160
Small Ambient Shipper - corrugated	160
Tablet - Lenovo Yogabook	10
Dispositivo Electronico -Handheld - Bluebird SF550	10
Kit A: Baseline/V1 (Rollover Visit)	10
Kit B: V2/W2	10

Kit C: V4/W6, V7/W18, V11/W50, V13/W74	40
Kit D: V5/W10, V9/W26	20
Kit E: V6/W14, V8/W22	20
Kit F: V10/W38, V12/W62, V14/W86, V15/W98	40
Kit G: V16/EOT, ET, UNS	10
Kit H: Liver Investigation	10
Kits de Venopuntura-Venipuncture Kits	170

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
Suero	ACM US 160 Elmgrove Park, Rochester, NY 14624	Centro de investigación de Argentina	Estados Unidos
Plasma	ACM US 160 Elmgrove Park, Rochester, NY 14624	Centro de investigación de Argentina	Estados Unidos
Sangre	ACM US 160 Elmgrove Park, Rochester, NY 14624	Centro de investigación de Argentina	Estados Unidos
Orina	ACM US 160 Elmgrove Park, Rochester, NY 14624	Centro de investigación de 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 RESOLUTION LATIN AMERICA 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 lo estipulado en el Anexo N°1 para Argentina de fecha 10 de enero de 2020, respecto de la realización de una prueba de embarazo con una periodicidad mensual a toda mujer en edad fértil durante su participación en el estudio.

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

Expediente N°: 1-0047-0002-000616-20-1.