



**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.