



**República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional**  
Las Malvinas son argentinas

**Disposición**

**Número:**

**Referencia:** 1-0047-0002-001020-21-1.

---

VISTO el Expediente N° 1-0047-0002-001020-21-1, 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, Abierto, Multicéntrico, de Grupos Paralelos para Evaluar la Eficacia, Seguridad y Tolerabilidad de la Monoterapia Oral BCX9930 para el Tratamiento de la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna en Sujetos con una Respuesta Inadecuada a la Terapia con Inhibidores del C5., Protocolo BCX9930-202 V Versión 2 del 27/05/2021 \_Producto en investigación: BCX9930 (inhibidor de moléculas pequeñas biodisponible del Factor D del complemento humano). .

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, Abierto, Multicéntrico, de Grupos Paralelos para Evaluar la Eficacia, Seguridad y Tolerabilidad de la Monoterapia Oral BCX9930 para el Tratamiento de la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna en Sujetos con una Respuesta Inadecuada a la Terapia con Inhibidores del C5., Protocolo V Versión 2 del 27/05/2021 \_Producto en investigación: BCX9930 (inhibidor de moléculas pequeñas biodisponible del Factor D del complemento humano)..

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	Andrés Lázaro Brodsky
Nombre del centro	Organización Médica de Investigación (OMI) - Centro Médico Reumatológico
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	BCX9930-202 Main ICF v4.0 16Jun21_Master ARG_v1.1 25Aug2021_Site017_Dr Brodsky_12nov21: V 1.1 ( 12/11/2021 )
	BCX9930-202 Pregnancy Partner Data Release v1.0 17May21_Master Arg_v1.1 25Aug2021_Dr Brodsky_12Nov21: V 1.1 ( 12/11/2021 )
	BCX9930-202 Optional Global PK sub ICF v1.0 13Apr21_Master Arg_v1.1 25Aug2021_Dr Brodsky_12nov21: V 1.1 ( 12/11/2021 )
	BCX9930-202 Optional Sample storage ICF v1.0 13Apr21_Master Arg_v1.1 25Aug2021_Dr Brodsky_12_nov21: V 1.1 ( 12/11/2021 )

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
BCX9930	Oral	miligramos	500	728	14.560	Frasco conteniendo 64 Comprimidos
Eculizumab	Intravenoso	miligramos	300	18	216	Vial de 30ml que contiene 300mg de Eculizumab

b) Materiales:

MATERIALES PARA IMPORTAR	
Detalle	Importar
Trumenba	15
I-Pad	10

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	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.

ARTÍCULO 8.- Regístrese; notifíquese electrónicamente al interesado la presente Disposición. Cumplido, archívese.

Expediente N°: 1-0047-0002-001020-21-1.

