



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/189474/2025
EMA/H/C/005557

Maarliv (L-αλανίνη, L-αργινίνη, L-ασπαρτικό οξύ, μονοένυδρη υδροχλωρική L-κυστεΐνη, L-γλουταμινικό οξύ, γλυκίνη, L-ιστιδίνη, μονοένυδρη L-λυσίνη, L-μεθειονίνη, L-φαινυλαλανίνη, L-προλίνη, L-σερίνη, ταυρίνη, L-θρεονίνη, L-τρυπτοφάνη, L-τυροσίνη)

Ανασκόπηση του Maarliv και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Maarliv και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Maarliv είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία επεισοδίου οξείας αντιρρόπησης (αιφνίδια επιδείνωση) της νόσου της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου (Maple syrup urine disease/MSUD). Η νόσος της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου είναι μια κληρονομική διαταραχή κατά την οποία ο οργανισμός δεν είναι σε θέση να διασπάσει ορισμένα δομικά στοιχεία πρωτεϊνών που είναι γνωστά ως αμινοξέα διακλαδισμένης αλυσίδας (BCAA), συμπεριλαμβανομένων της λευκίνης, της ισολευκίνης και της βαλίνης. Ως εκ τούτου, τα εν λόγω αμινοξέα συσσωρεύονται στον οργανισμό, συμπεριλαμβανομένου του εγκεφάλου, όπου, ιδίως η λευκίνη, μπορούν να προκαλέσουν εγκεφαλικές βλάβες.

Το Maarliv προορίζεται για χρήση σε ασθενείς που δεν μπορούν να λάβουν από το στόμα ή μέσω σωλήνα σίτισης αμινοξέα άνευ BCAA.

Η νόσος της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου είναι «σπάνια» και το Maarliv χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 26 Οκτωβρίου 2018. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Maarliv περιέχει ως δραστική ουσία τα ακόλουθα αμινοξέα: L-αλανίνη, L-αργινίνη, L-ασπαρτικό οξύ, μονοένυδρη υδροχλωρική L-κυστεΐνη, L-γλουταμινικό οξύ, γλυκίνη, L-ιστιδίνη, μονοένυδρη L-λυσίνη, L-μεθειονίνη, L-φαινυλαλανίνη, L-προλίνη, L-σερίνη, ταυρίνη, L-θρεονίνη, L-τρυπτοφάνη, L-τυροσίνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Maarliv;

Το Maarliv χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται υπό την επίβλεψη γιατρού με εμπειρία στη διαχείριση της νόσου της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Το φάρμακο χορηγείται με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση) έως ότου τα επίπεδα της λευκίνης επανέλθουν στα φυσιολογικά επίπεδα.

Σε ασθενείς με σοβαρή ή κρίσιμη επιδείνωση της νόσου και πολύ υψηλά επίπεδα λευκίνης, η θεραπεία με Maarlin ενδέχεται να μην επαρκεί για τη μείωση των επιπέδων λευκίνης και ενδέχεται να χρειαστούν άλλες θεραπείες, όπως αιμοκάθαρση ή αιμοδιήθηση (διαδικασίες για την απομάκρυνση των αποβλήτων από το αίμα).

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Maarlin, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Maarlin;

Το Maarlin αποτελείται από διάλυμα αμινοξέων, αλλά χωρίς BCAA. Όταν το Maarlin χορηγείται στον ασθενή, ο οργανισμός χρησιμοποιεί τα αμινοξέα για την παραγωγή πρωτεϊνών σε συνδυασμό με την περίσσεια αμινοξέων διακλαδισμένων αλυσίδων (BCAA) που σχηματίστηκαν λόγω της αιφνίδιας επιδείνωσης της νόσου. Με αυτόν τον τρόπο μειώνεται το επίπεδο των BCAA στον οργανισμό και, κατά συνέπεια, μειώνεται η τοξική τους επίδραση.

Ποια είναι τα οφέλη του Maarlin σύμφωνα με τις μελέτες;

Η παρασκευάστρια εταιρεία προσκόμισε δεδομένα από 5 μελέτες δημοσιευμένες στην επιστημονική βιβλιογραφία. Στις μελέτες μετείχαν συνολικά 88 ασθενείς με νόσο της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου και εξέτασαν τη χρήση μείγματος αμινοξέων άνευ BCAA για τη θεραπεία της αιφνίδιας επιδείνωσης της νόσου με βάση τα υψηλά επίπεδα λευκίνης. Τα αμινοξέα ήταν τα ίδια με εκείνα του Maarlin και χορηγήθηκαν είτε με έγχυση είτε από το στόμα ή με σωλήνα σίτισης. Από τις μελέτες προέκυψε ότι τα μείγματα αμινοξέων που δεν περιέχουν BCAA μείωσαν τα επίπεδα λευκίνης στα φυσιολογικά επίπεδα κατά την έξοδο των ασθενών από το νοσοκομείο.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Maarlin;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Maarlin περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι ανεπιθύμητες ενέργειες των μειγμάτων αμινοξέων άνευ BCAA οι οποίες αναφέρονται στη βιβλιογραφία (ενδέχεται να εμφανιστούν σε έως και 1 στους 100 ασθενείς) περιλαμβάνουν αναφυλακτικές ή αναφυλακτοειδείς αντιδράσεις (αιφνίδια, σοβαρή αλλεργική αντίδραση), υπερευαισθησία (αλλεργική αντίδραση), υπεραμμοναιμία (υψηλά επίπεδα αμμωνίας στο αίμα), πνευμονική θρομβοεμβολή (θρόμβος αίματος σε αιμοφόρο αγγείο στους πνεύμονες), φλεβική θρομβοεμβολή (θρόμβος αίματος σε φλέβα), αναπνευστική δυσχέρεια (δυσκολία στην αναπνοή), αυξημένα επίπεδα χολερυθρίνης στο αίμα (προϊόν διάσπασης των ερυθρών αιμοσφαιρίων), αυξημένα επίπεδα ηπατικών ενζύμων (ένδειξη ηπατικής δυσλειτουργίας), χολόσταση (προβλήματα ροής της χολής), χολοκυστίτιδα (φλεγμονή της χοληδόχου κύστης που προκαλείται από παγιδευμένη χολή), χολολιθίαση (χολόλιθοι, δηλαδή σκληρυμένα τμήματα χολής που σχηματίζονται στη χοληδόχο κύστη), αζωθαιμία (υψηλά επίπεδα καταλοίπων αζώτου στο αίμα, ένδειξη νεφρικής δυσλειτουργίας), θρομβοφλεβίτιδα στο σημείο έγχυσης (φλεγμονή της φλέβας που λαμβάνει την ενστάλαξη) και φλεβικό ερεθισμό (ερεθισμός της φλέβας που λαμβάνει την ενστάλαξη).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Maapliv στην ΕΕ;

Η νόσος της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου είναι μια σπάνια νόσος και υπάρχει ανικανοποίητη ιατρική ανάγκη. Κατά τον χρόνο χορήγησης της άδειας κυκλοφορίας του Maapliv, δεν υπήρχαν εγκεκριμένα φάρμακα για τη θεραπεία είτε της νόσου καθαυτής είτε επεισοδίων αιφνίδιας επιδείνωσης της νόσου, τα οποία απαιτούν επείγουσα θεραπεία. Το Maapliv είναι ένα έτοιμο μείγμα αμινοξέων που δεν περιέχει BCAA και μπορεί να χορηγηθεί με έγχυση. Μελέτες έχουν δείξει ότι τα ελεύθερα από BCAA αμινοξέα, όπως το Maapliv, μπορούν να επαναφέρουν τα επίπεδα της λευκίνης στα φυσιολογικά επίπεδα σε ασθενείς που αντιμετωπίζουν αιφνίδια επιδείνωση της νόσου τους. Η κανονικοποίηση των επιπέδων λευκίνης αποτελεί σημαντικό μέρος της διαχείρισης της νόσου της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου. Η χορήγηση του φαρμάκου με έγχυση παρέχει επίσης όφελος στους ασθενείς που δεν μπορούν να λάβουν θεραπεία από το στόμα ή μέσω του σωλήνα σίτισης. Σε ό,τι αφορά την ασφάλεια, βάσει των διαθέσιμων δεδομένων η θεραπεία με αμινοξέα άνευ BCAA ήταν καλώς ανεκτή και δεν υπήρχαν ανησυχίες σχετικά με την ασφάλεια.

Το Maapliv εγκρίθηκε με τη διαδικασία των «εξαιρετικών περιστάσεων» διότι, λόγω της σπανιότητας της πάθησης, δεν κατέστη δυνατή η συγκέντρωση ολοκληρωμένων πληροφοριών για το Maapliv. Η εταιρεία πρέπει να παράσχει περαιτέρω στοιχεία για το Maapliv. Πρέπει να διενεργήσει μελέτη που εξετάζει την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια του Maapliv στη θεραπεία επεισοδίων οξείας αντιρρόπησης σε ασθενείς που πάσχουν από τη νόσο της οσμής των ούρων σαν σιρόπι σφενδάμου. Η εταιρεία θα παρέχει επίσης ετήσιες επικαιροποιήσεις σχετικά με τυχόν νέες πληροφορίες που αφορούν την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου. Κάθε χρόνο, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα εξετάζει κάθε νέα διαθέσιμη πληροφορία.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Maapliv;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Maapliv.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Maapliv τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Maapliv θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Maapliv

Το Maapliv έλαβε άδεια κυκλοφορίας υπό εξαιρετικές περιστάσεις, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις .

Περισσότερες πληροφορίες για το Maapliv διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/maapliv.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 06-2025.