



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Maapliv (L-alanine, L-arginine, acide L-aspartique, chlorhydrate de L-cystéine monohydraté, acide L-glutamique, glycine, L-histidine, L-lysine monohydratée, L-méthionine, L-phénylalanine, L-proline, L-sérine, taurine, L-thréonine, L-tryptophane, L-tyrosine)

Aperçu de Maapliv et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Maapliv et dans quel cas est-il utilisé?

Maapliv est un médicament utilisé dans le traitement d'un épisode de décompensation aiguë (aggravation soudaine) de la maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable. La maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable est un trouble héréditaire dans lequel l'organisme n'est pas en mesure de décomposer certains éléments constitutifs de protéines appelées acides aminés à chaîne ramifiée (AACR), notamment la leucine, l'isoleucine et la valine. En conséquence, ces acides aminés s'accumulent dans l'organisme, y compris dans le cerveau, où notamment la leucine peut provoquer des lésions cérébrales.

Maapliv est destiné aux patients qui ne peuvent pas recevoir d'acides aminés sans AACR par voie orale ou par une sonde d'alimentation.

La maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable est rare et Maapliv a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 26 octobre 2018. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Maapliv a pour substance active les acides aminés suivants: L-alanine, L-arginine, acide L-aspartique, chlorhydrate de L-cystéine monohydraté, acide L-glutamique, glycine, L-histidine, L-lysine monohydratée, L-méthionine, L-phénylalanine, L-proline, L-sérine, taurine, L-thréonine, L-tryptophane, L-tyrosine.

Comment Maapliv est-il utilisé?

Maapliv n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré sous la surveillance d'un médecin expérimenté dans la prise en charge de la maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable.

Le médicament est administré sous la forme d'une perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine jusqu'à ce que les taux de leucine soient revenus à la normale.

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



Chez les patients présentant une aggravation sévère ou critique de la maladie et des taux très élevés de leucine, le traitement par Maapliv peut ne pas suffire à diminuer les taux de leucine et ces patients peuvent nécessiter d'autres traitements tels que l'hémodialyse ou l'hémofiltration (procédures visant à éliminer les déchets du sang).

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Maapliv, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Maapliv agit-il?

Maapliv est une solution d'acides aminés, mais qui ne contient pas d'AACR. Lorsque Maapliv est administré au patient, l'organisme utilise les acides aminés pour fabriquer des protéines, ainsi que les AACR excédentaires qui se sont accumulés en raison de l'aggravation soudaine de la maladie. Ce mécanisme permet de faire diminuer le taux d'AACR dans l'organisme, réduisant ainsi leur effet toxique.

Quels sont les bénéfices de Maapliv démontrés au cours des études?

La société a fourni des données provenant de cinq études publiées dans la littérature scientifique. Les études ont porté sur un total de 88 patients atteints de la maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable et visaient à examiner l'utilisation d'un mélange d'acides aminés sans AACR pour traiter l'aggravation soudaine de la maladie due à des taux élevés de leucine. Les acides aminés étaient les mêmes que ceux contenus dans Maapliv et ont été administrés soit par perfusion, soit par voie orale ou par sonde d'alimentation. Les études ont montré que l'utilisation de mélanges d'acides aminés sans AACR a permis de réduire les taux de leucine à la normale au moment où les patients quittaient l'hôpital.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Maapliv?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Maapliv, voir la notice.

Les effets indésirables des mélanges d'acides aminés sans AACR signalés dans la littérature (qui peuvent toucher jusqu'à une personne sur 100) sont notamment les suivants: réactions anaphylactiques ou anaphylactoïdes (réaction allergique soudaine et grave), hypersensibilité (réaction allergique), hyperammoniémie (taux élevés d'ammoniaque dans le sang), thromboembolie pulmonaire (caillot sanguin dans un vaisseau sanguin dans les poumons), thromboembolie veineuse (caillot sanguin dans une veine), détresse respiratoire (difficultés respiratoires), augmentation des taux sanguins de bilirubine (produit de dégradation des globules rouges), augmentation des taux d'enzymes hépatiques (signe de problèmes de la fonction hépatique), cholestase (problèmes du flux biliaire), cholécystite (inflammation de la vésicule biliaire causée par une obstruction de la bile), cholélithiase (calculs biliaires; morceaux de bile durcis dans la vésicule biliaire), azotémie (taux élevés de résidus azotés dans le sang, signe de problèmes de la fonction rénale), thrombophlébite au site de perfusion (inflammation de la veine recevant le goutte-à-goutte) et irritation veineuse (irritation de la veine recevant le goutte-à-goutte).

Pourquoi Maapliv est-il autorisé dans l'UE?

La maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable est une maladie rare pour laquelle un besoin médical n'est pas satisfait. Au moment de l'autorisation de Maapliv, aucun médicament n'était autorisé pour traiter la maladie elle-même ou des épisodes d'aggravation soudaine de la maladie, qui nécessitent un

traitement urgent. Maapliv est un mélange prêt à l'emploi d'acides aminés sans AACR qui peut être administré par perfusion. Des études ont montré que les acides aminés sans AACR tels que Maapliv peuvent faire revenir à la normale le taux de leucine chez les patients présentant une aggravation soudaine de leur maladie. La normalisation des taux de leucine est un élément important de la gestion de la maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable. L'administration du médicament par perfusion apporte également un bénéfice aux patients qui ne peuvent pas prendre de traitement par voie orale ou par sonde d'alimentation. En termes de sécurité, le traitement par acides aminés sans AACR a été bien toléré et aucune préoccupation en matière de sécurité n'a été soulevée sur la base des données disponibles.

Une autorisation de mise sur le marché «dans des circonstances exceptionnelles» a été délivrée pour Maapliv. En effet, il n'a pas été possible d'obtenir des informations complètes concernant Maapliv en raison de la rareté de la maladie. La société doit fournir des données supplémentaires sur Maapliv. Elle doit réaliser une étude portant sur l'efficacité et la sécurité de Maapliv dans le traitement des épisodes de décompensation aiguë chez les patients atteints de la maladie des urines à l'odeur de sirop d'érable. La société fournira également des mises à jour annuelles sur toute nouvelle information relative à la sécurité et à l'efficacité du médicament. Chaque année, l'Agence européenne des médicaments examinera toute nouvelle information disponible.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Maapliv?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Maapliv ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Maapliv sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Maapliv sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Maapliv:

Une autorisation de mise sur le marché dans des circonstances exceptionnelles valide dans toute l'UE a été délivrée pour Maapliv le .

De plus amples informations sur Maapliv sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/maapliv.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 06-2025.