



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Maapliv (L-alanina, L-arginina, acido L-aspartico, L-cisteina cloridrato monoidrato, acido L-glutammico, glicina, L-istidina, L-lisina monoidrato, L-metionina, L-fenilalanina, L-prolina, L-serina, taurina, L-treonina, L-triptofano, L-tirosina)

Sintesi di Maapliv e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Maapliv e per cosa si usa?

Maapliv è un medicinale usato per il trattamento di un episodio di scompenso acuto (improvviso peggioramento) della malattia delle urine a sciroppo d'acero. La malattia delle urine a sciroppo d'acero è un disturbo ereditario in cui l'organismo non è in grado di scomporre alcuni elementi costitutivi di proteine denominate aminoacidi a catena ramificata (BCAA), tra cui leucina, isoleucina e valina. Di conseguenza, questi aminoacidi si accumulano nell'organismo, compreso il cervello, dove la leucina in particolare può causare danni.

Maapliv è indicato per pazienti che non possono ricevere aminoacidi privi di BCAA per via orale o attraverso una sonda per nutrizione enterale.

La malattia delle urine a sciroppo d'acero è rara e Maapliv è stato qualificato come «medicinale orfano» (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 26 ottobre 2018. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Maapliv contiene come principio attivo i seguenti aminoacidi: L-alanina, L-arginina, acido L-aspartico, L-cisteina cloridrato monoidrato, acido L-glutammico, glicina, L-istidina, L-lisina monoidrato, L-metionina, L-fenilalanina, L-prolina, L-serina, taurina, L-treonina, L-triptofano, L-tirosina.

Come si usa Maapliv?

Maapliv può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato sotto la supervisione di un medico esperto nella gestione della malattia delle urine a sciroppo d'acero.

Il medicinale è somministrato per infusione (flebo) in vena fino a quando i livelli di leucina tornano alla normalità.

Nei pazienti con peggioramento grave o critico della malattia e livelli molto elevati di leucina, il trattamento con Maapliv può non essere sufficiente a ridurre i livelli di leucina e possono essere

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



necessari altri trattamenti come l'emodialisi o l'emofiltrazione (procedure per rimuovere i prodotti di scarto dal sangue).

Per maggiori informazioni sull'uso di Maapliv, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Maapliv?

Maapliv è costituito da una soluzione di aminoacidi privi di BCAA. Quando Maapliv viene somministrato al paziente, l'organismo utilizza gli aminoacidi per la produzione di proteine insieme ai BCAA in eccesso che si sono accumulati a causa del peggioramento improvviso della malattia. Tale azione abbassa il livello di BCAA nell'organismo, riducendone in tal modo l'effetto tossico.

Quali benefici di Maapliv sono stati evidenziati negli studi?

La ditta ha fornito dati tratti da 5 studi pubblicati nella letteratura scientifica. Gli studi hanno coinvolto in totale 88 pazienti con malattia delle urine a sciroppo d'acero e hanno esaminato l'utilizzo di una miscela di aminoacidi privi di BCAA per il trattamento di un peggioramento improvviso della malattia sulla base di livelli elevati di leucina. Gli aminoacidi erano gli stessi di quelli presenti in Maapliv e sono stati somministrati per infusione oppure per via orale o attraverso una sonda per nutrizione enterale. Secondo i risultati degli studi le miscele di aminoacidi privi di BCAA avevano riportato i livelli di leucina alla normalità al momento delle dimissioni dei pazienti dall'ospedale.

Quali sono i rischi associati a Maapliv?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Maapliv, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati delle miscele di aminoacidi prive di BCAA riportati in letteratura (che possono riguardare fino a 1 persona su 100) comprendono reazioni anafilattiche o anafilattoidi (reazioni allergiche improvvise e gravi), ipersensibilità (reazione allergica), iperammoniemia (livelli elevati di ammoniaca nel sangue), tromboembolia polmonare (coaguli di sangue in un vaso sanguigno dei polmoni), tromboembolia venosa (coaguli di sangue in una vena), sofferenza respiratoria (difficoltà respiratorie), livelli aumentati di bilirubina nel sangue (un prodotto del metabolismo dei globuli rossi), livelli aumentati di enzimi epatici (un segno di problemi a livello della funzione epatica), colestasi (problemi a livello del flusso biliare), colecistite (infiammazione della cistifellea causata da un blocco della bile), colelitiasi (calcoli biliari; elementi solidificati di bile nella cistifellea), azotemia (livelli elevati di prodotti di scarto dell'azoto nel sangue, un segno di problemi a livello della funzione renale), tromboflebite in sede di infusione (infiammazione della vena di inserzione della flebo) e irritazione venosa (irritazione della vena di inserzione della flebo).

Perché Maapliv è autorizzato nell'UE?

La malattia delle urine a sciroppo d'acero è una malattia rara con un'esigenza medica non soddisfatta. Al momento dell'autorizzazione di Maapliv, non vi erano medicinali autorizzati per il trattamento della malattia stessa o di episodi di peggioramento improvviso della malattia, che richiedono un intervento urgente. Maapliv è una miscela pronta di aminoacidi privi di BCAA che può essere somministrata per infusione. Gli studi hanno dimostrato che gli aminoacidi privi di BCAA, come Maapliv, possono riportare il livello di leucina alla normalità nei pazienti che manifestano un peggioramento improvviso della malattia. La normalizzazione dei livelli di leucina è una parte importante della gestione della malattia delle urine a sciroppo d'acero. La somministrazione del medicinale per infusione fornisce inoltre un

beneficio ai pazienti che non possono assumere il trattamento per via orale o attraverso una sonda per nutrizione enterale. In termini di sicurezza, il trattamento con aminoacidi privi di BCAA è stato ben tollerato e non sono emersi problemi di sicurezza sulla base dei dati disponibili.

Maapliv è stato autorizzato in «circostanze eccezionali» perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia. La ditta deve fornire ulteriori dati su Maapliv. Deve effettuare uno studio per esaminare l'efficacia e la sicurezza di Maapliv nel trattamento degli episodi di scompenso acuti nei pazienti con malattia delle urine a sciroppo d'acero. La ditta fornirà inoltre aggiornamenti annuali su tutte le nuove informazioni relative alla sicurezza e all'efficacia del medicinale. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà tutte le nuove informazioni disponibili.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Maapliv?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Maapliv sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Maapliv sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Maapliv sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Maapliv

Maapliv ha ricevuto un'autorizzazione all'immissione in commercio in circostanze eccezionali valida in tutta l'UE il .

Ulteriori informazioni su Maapliv sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/maapliv.

Ultimo aggiornamento della presente sintesi: 06-2025.