



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Maapliv (*L-alanine, L-arginine, L-asparaginezuur, L-cysteïnehydrochloridemonohydraat, L-glutaminezuur, glycine, L-histidine, L-lysinemonohydraat, L-methionine, L-fenylalanine, L-proline, L-serine, taurine, L-threonine, L-tryptofaan, L-tyrosine*)

Een overzicht van Maapliv en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Maapliv en wanneer wordt het voorgeschreven?

Maapliv is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van een acute decompensatie-episode (plotselinge verergering) van MSUD (Maple Syrup Urine Disease, ook wel ahornstroopziekte of leucinoze genaamd). MSUD is een erfelijke aandoening waarbij het lichaam niet in staat is om bepaalde bouwstenen van eiwitten, zogenoemde 'vertakte-keten-aminozuren' (BCAA's, *branched-chain amino acids*), waaronder leucine, isoleucine en valine, af te breken. Als gevolg daarvan hopen deze aminozuren zich op in het lichaam, ook in de hersenen, waar met name leucine kan leiden tot hersenschade.

Maapliv is bestemd voor gebruik bij patiënten die geen BCAA-vrije aminozuren via de mond of via een voedingsbuis toegediend kunnen krijgen.

MSUD is zeldzaam, en Maapliv is op 26 oktober 2018 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Maapliv bevat de volgende aminozuren als werkzame stof: L-alanine, L-arginine, L-asparaginezuur, L-cysteïnehydrochloridemonohydraat, L-glutaminezuur, glycine, L-histidine, L-lysinemonohydraat, L-methionine, L-fenylalanine, L-proline, L-serine, taurine, L-threonine, L-tryptofaan, L-tyrosine.

Hoe wordt Maapliv gebruikt?

Maapliv is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van MSUD.

Het geneesmiddel wordt toegediend in de vorm van een infusie (indruppeling) in een ader totdat het leucinegehalte weer normaal is.

Bij patiënten met een ernstige of kritieke verergering van de ziekte en zeer hoge leucinegehalten is behandeling met Maapliv mogelijk niet voldoende om het leucinegehalte te verlagen. Deze patiënten

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



kunnen andere behandelingen nodig hebben, zoals hemodialyse of hemofiltratie (procedures om afvalproducten uit het bloed te verwijderen).

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Maapliv.

Hoe werkt Maapliv?

Maapliv bestaat uit een oplossing van aminozuren zonder BCAA's. Wanneer Maapliv aan de patiënt wordt toegediend, gebruikt het lichaam de aminozuren én de overtollige BCAA's die zich hebben gevormd als gevolg van de plotselinge verergering van de ziekte, om eiwitten aan te maken. Op die manier wordt het gehalte aan BCAA's in het lichaam verlaagd, waardoor het toxische effect ervan wordt verminderd.

Welke voordelen bleek Maapliv tijdens de studies te hebben?

Het bedrijf heeft gegevens overgelegd van vijf studies die in de wetenschappelijke literatuur zijn gepubliceerd. Bij de studies waren in totaal 88 patiënten met MSUD betrokken en werd gekeken naar het gebruik van een BCAA-vrij mengsel van aminozuren voor de behandeling van plotselinge verergering van de ziekte, zoals bepaald op basis van verhoogde leucinegehalten. De aminozuren waren dezelfde als die in Maapliv en werden toegediend als infusie, via de mond of via een voedingsbuis. Uit de studies bleek dat BCAA-vrije aminozuurmengsels het leucinegehalte tot een normaal niveau hadden verlaagd tegen de tijd dat patiënten het ziekenhuis verlieten.

Welke risico's houdt het gebruik van Maapliv in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Maapliv.

De in de literatuur gemelde bijwerkingen van BCAA-vrije aminozuurmengsels (die bij maximaal 1 op de 100 personen kunnen optreden) zijn anafylactische of anafylactoïde reacties (plotselinge, ernstige allergische reactie), overgevoeligheid (allergische reactie), hyperammoniëmie (hoge bloedconcentraties ammoniak), longtrombo-embolie (bloedstolsel in een bloedvat in de longen), veneuze trombo-embolie (bloedstolsel in een ader), ademhalingsmoeilijkheden, verhoogde bloedconcentraties bilirubine (een afbraakproduct van rode bloedcellen), verhoogde leverenzymwaarden (een teken van problemen met de leverfunctie), cholestase (problemen met de uitscheiding van gal), cholecystitis (ontsteking van de galblaas veroorzaakt door opgehoopt gal), cholelithiasis (galstenen; verharde klontjes gal in de galblaas), azotemie (hoge concentraties stikstofafvalproducten in het bloed, een teken van problemen met de nierfunctie), tromboflebitis op de infusieplaats (ontsteking van de ader waarin het middel is ingedruppeld) en veneuze irritatie (irritatie van de ader waarin het middel is ingedruppeld).

Waarom is Maapliv geregistreerd in de EU?

MSUD is een zeldzame ziekte waarvoor een on vervulde medische behoefte bestaat. Op het moment van goedkeuring van Maapliv waren er geen geneesmiddelen goedgekeurd voor de behandeling van de ziekte zelf of van episoden van plotselinge verergering van de ziekte, die dringend behandeling vereisen. Maapliv is een kant-en-klaar mengsel van BCAA-vrije aminozuren dat via infusie kan worden toegediend. Uit studies is gebleken dat BCAA-vrije aminozuren zoals Maapliv het leucinegehalte bij patiënten met een plotselinge verergering van hun ziekte kunnen terugbrengen tot een normaal niveau. Normalisatie van de leucinegehalten is een belangrijk onderdeel van de behandeling van

MSUD. Toediening van het geneesmiddel via infusie biedt ook een voordeel voor patiënten die geen behandeling via de mond of via een voedingssonde kunnen innemen. Wat de veiligheid betreft, werd behandeling met BCAA-vrije aminozuren goed verdragen en hebben zich volgens de beschikbare gegevens geen veiligheidsproblemen voorgedaan.

Maapliv is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Maapliv te verkrijgen. Het bedrijf moet nadere gegevens over Maapliv verstrekken. Het bedrijf moet een onderzoek uitvoeren naar de werkzaamheid en veiligheid van Maapliv bij de behandeling van acute decompensatie-episoden bij patiënten met MSUD. Het bedrijf zal ook jaarlijks verslag uitbrengen over eventuele nieuwe informatie met betrekking tot de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventuele nieuw beschikbare informatie beoordelen.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Maapliv te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Maapliv, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Maapliv continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Maapliv worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Maapliv

Op <datum van afgifte van de handelsvergunning> is in uitzonderlijke omstandigheden een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Maapliv verleend.

Meer informatie over Maapliv is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/maapliv.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 06-2025.