



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Maapliv (L-alanina, L-arginina, kwas L-asparaginowy, L-cysteiny chlorowodorek jednowodny, kwas L-glutaminowy, glicyna, L-histydyna, L-lizyna jednowodna, L-metionina, L-fenylalanina, L-prolina, L-seryna, tauryna, L-treonina, L-tryptofan, L-tyrozyna)

Przegląd wiedzy na temat leku Maapliv i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Maapliv i w jakim celu się go stosuje

Maapliv jest lekiem stosowanym w leczeniu ostrego epizodu dekompensacji (nagłego pogorszenia) w przebiegu choroby syropu klonowego. Choroba syropu klonowego jest chorobą dziedziczną, w której organizm nie jest w stanie rozkładać niektórych elementów budulcowych białek, tzw. aminokwasów rozgałęzionych (BCAA), w tym leucyny, izoleucyny i waliny. W rezultacie aminokwasy te gromadzą się w organizmie, w tym w mózgu, gdzie zwłaszcza leucyna może prowadzić do uszkodzeń.

Lek Maapliv jest przeznaczony dla pacjentów, którzy nie mogą otrzymywać aminokwasów niezawierających BCAA doustnie ani przez zgłębnik.

Ze względu na to, że choroba syropu klonowego jest chorobą rzadko występującą, w dniu 26 października 2018 r. lek Maapliv uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancjami czynnymi zawartymi w leku Maapliv są następujące aminokwasy: L-alanina, L-arginina, kwas L-asparaginowy, L-cysteiny chlorowodorek jednowodny, kwas L-glutaminowy, glicyna, L-histydyna, L-lizyna jednowodna, L-metionina, L-fenylalanina, L-prolina, L-seryna, tauryna, L-treonina, L-tryptofan oraz L-tyrozyna.

Jak stosować lek Maapliv

Lek wydawany na receptę. Leczenie należy rozpoczynać pod nadzorem lekarza mającego doświadczenie w prowadzeniu pacjentów z chorobą syropu klonowego.

Lek podaje się we wlewie dożylnym (kroplówce) do momentu, gdy stężenie leucyny powróci do wartości prawidłowej.

U pacjentów z ciężkim lub krytycznym pogorszeniem choroby i bardzo wysokim stężeniem leucyny podawanie leku Maapliv może nie wystarczyć, by zmniejszyć ilość tego aminokwasu, i może być

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



konieczne zastosowanie innych metod leczenia, takich jak hemodializa lub hemofiltracja (zabiegi mające na celu usunięcie z krwi produktów przemiany materii).

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Maapliv znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Maapliv

Lek Maapliv to roztwór aminokwasów niezawierający BCAA. Po podaniu leku Maapliv pacjentowi organizm wykorzystuje te aminokwasy — wraz z BCAA nagromadzonymi wskutek nagłego pogorszenia choroby — do wytwarzania białek. Obniża to stężenia BCAA w organizmie, a tym samym ogranicza ich toksyczne działanie.

Korzyści ze stosowania leku Maapliv wykazane w badaniach

Firma przedstawiła dane z pięciu badań opublikowanych w literaturze naukowej. W badaniach uczestniczyło 88 pacjentów z chorobą syropu klonowego, a dotyczyły one oceny zastosowania niezawierającej BCAA mieszaniny aminokwasów w leczeniu nagłego pogorszenia choroby spowodowanego wysokim stężeniem leucyny. Stosowano w nich te same aminokwasy, jak te zawarte w leku Maapliv, i podawano je we wlewie, doustnie, albo przez zgłębnik. Badania wykazały, że przed opuszczeniem szpitala przez pacjentów mieszaniny aminokwasów niezawierające BCAA powodowały spadek stężenia leucyny do wartości prawidłowych.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Maapliv

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Maapliv znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Opisywane w literaturze działania niepożądane mieszanin aminokwasów niezawierających BCAA (mogące wystąpić u 1 na 100 pacjentów) to: reakcje anafilaktyczne lub anafilaktoidalne (nagłe, ciężkie reakcje alergiczne), nadwrażliwość (reakcja alergiczna), hiperamonemia (wysokie stężenie amoniaku we krwi), choroba zakrzepowo-zatorowa płuc (obecność skrzepu w naczyniu krwionośnym w płucach), żylna choroba zakrzepowo-zatorowa (obecność skrzepu w żyłach), niewydolność oddechowa (trudności w oddychaniu), podwyższone stężenie bilirubiny (produktu rozpadu krwinek czerwonych) we krwi, podwyższone stężenie enzymów wątrobowych (objaw zaburzeń czynności wątroby), cholestaza (problemy z przepływem żółci), zapalenie pęcherzyka żółciowego (stan zapalny pęcherzyka żółciowego spowodowany zablokowaniem odpływu żółci), kamica żółciowa (powstawanie kamieni żółciowych — stwardniałych fragmentów żółci w pęcherzyku żółciowym), azotemia (wysokie stężenie zawierających azot produktów przemiany materii we krwi, będące objawem zaburzonej czynności nerek), zakrzepowe zapalenie żył w miejscu podania wlewu (stan zapalny żyły, do której podaje się kroplówkę) i podrażnienie żyły (do której podaje się kroplówkę).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Maapliv w UE

Choroba syropu klonowego jest chorobą rzadko występującą, a potrzeby medyczne w jej przypadku pozostają niezaspokojone. W momencie dopuszczenia leku Maapliv do obrotu nie istniały leki dopuszczone do leczenia samej choroby ani epizodów jej nagłego pogorszenia, które wymagają pilnego leczenia. Lek Maapliv jest gotową mieszaniną aminokwasów niezawierającą BCAA, którą można podawać we wlewie. Badania wykazały, że aminokwasy niezawierające BCAA, jak te zawarte w leku Maapliv, mogą obniżyć stężenie leucyny do wartości prawidłowych u pacjentów, u których wystąpiło nagłe pogorszenie choroby. Normalizacja stężenia leucyny stanowi istotną część postępowania

lecniczego w przypadku choroby syropu klonowego. Podawanie leku we wlewie jest także korzystne u pacjentów, którzy nie mogą przyjmować leczenia doustnie ani przez zgłąbnik. Jeśli chodzi o bezpieczeństwo, leczenie aminokwasami niezawierającymi BCAA było dobrze tolerowane, a na podstawie dostępnych danych nie stwierdzono problemów dotyczących bezpieczeństwa.

Lek Maapliv dopuszczono do obrotu w wyjątkowych okolicznościach. Wynika to z faktu, że nie można było uzyskać pełnych informacji o leku Maapliv z uwagi na rzadkie występowanie choroby. Firma musi dostarczyć więcej danych dotyczących leku Maapliv. Musi ona przeprowadzić badanie oceniające skuteczność i bezpieczeństwo stosowania leku Maapliv w leczeniu epizodów dekompensacji u pacjentów z chorobą syropu klonowego. Firma będzie również co roku udostępniać nowe informacje dotyczące bezpieczeństwa i skuteczności stosowania leku. Co roku Europejska Agencja Leków dokona przeglądu wszelkich nowych informacji, które będą dostępne.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Maapliv

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Maapliv w Charakterystyce Produktu Lecniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Maapliv są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Maapliv są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Maapliv

Lek Maapliv otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu w wyjątkowych okolicznościach, ważne w całej UE od dnia .

Dalsze informacje dotyczące leku Maapliv znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/maapliv.

Data ostatniej aktualizacji: 06.2025.