



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Maapliv (*L-alanina, L-arginina, ácido L-aspartico, cloridrato de L-cisteína mono-hidratado, ácido L-glutâmico, glicina, L-histidina, L-lisina mono-hidratada, L-metionina, L-fenilalanina, L-prolina, L-serina, taurina, L-treonina, L-triptofano, L-tirosina*)

Um resumo sobre Maapliv e por que está autorizado na UE

O que é Maapliv e para que é utilizado?

Maapliv é um medicamento utilizado no tratamento de um episódio de descompensação aguda (agravamento súbito) da doença de urina em xarope de bordo. A doença de urina em xarope de bordo é um distúrbio hereditário em que o organismo não consegue decompor determinados elementos constitutivos de proteínas conhecidos como aminoácidos de cadeia ramificada (BCAA), incluindo a leucina, a isoleucina e a valina. Consequentemente, estes aminoácidos acumulam-se no corpo, incluindo no cérebro, onde a leucina, em particular, pode causar lesões cerebrais.

Maapliv destina-se a ser utilizado em doentes que não podem receber aminoácidos sem BCAA por via oral ou através de um tubo de alimentação.

A doença de urina em xarope de bordo é uma doença rara, e Maapliv foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 26 de outubro de 2018. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web](#) da EMA.

Maapliv contém os seguintes aminoácidos como substância ativa: L-alanina, L-arginina, ácido L-aspartico, cloridrato de L-cisteína mono-hidratado, ácido L-glutâmico, glicina, L-histidina, L-lisina mono-hidratada, L-metionina, L-fenilalanina, L-prolina, L-serina, taurina, L-treonina, L-triptofano, L-tirosina.

Como se utiliza Maapliv?

Maapliv só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado sob a supervisão de um médico com experiência no tratamento da doença de urina em xarope de bordo.

O medicamento é administrado por perfusão (gota a gota) numa veia até que os níveis de leucina voltem ao normal.

Em doentes com agravamento grave ou crítico da doença e níveis muito elevados de leucina, o tratamento com Maapliv pode não ser suficiente para reduzir os níveis de leucina e podem necessitar

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



de outros tratamentos, como a hemodiálise ou a hemofiltração (procedimentos para remover resíduos do sangue).

Para mais informações sobre a utilização de Maapliv, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Maapliv?

Maapliv consiste numa solução de aminoácidos, mas sem BCAA. Quando Maapliv é administrado ao doente, o organismo utiliza os aminoácidos para produzir proteínas, juntamente com os BCAA em excesso que se acumularam devido ao agravamento súbito da doença. Isto reduz o nível de BCAA no organismo, diminuindo assim o seu efeito tóxico.

Quais os benefícios demonstrados por Maapliv durante os estudos?

A empresa forneceu dados de 5 estudos publicados na literatura científica. Os estudos incluíram um total de 88 doentes com doença de urina em xarope de bordo e analisaram a utilização de uma mistura de aminoácidos sem BCAA para tratar o agravamento súbito da doença com base em níveis elevados de leucina. Os aminoácidos eram os mesmos que os de Maapliv e foram administrados por perfusão, por via oral ou através de um tubo de alimentação. Os estudos concluíram que as misturas de aminoácidos sem BCAA reduziram os níveis de leucina para o normal quando os doentes saíram do hospital.

Quais são os riscos associados a Maapliv?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Maapliv, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários das misturas de aminoácidos sem BCAA descritos na literatura (que podem afetar 1 em cada 100 pessoas) incluem reações anafiláticas ou anafilatóides (reação alérgica súbita e grave), hipersensibilidade (reação alérgica), hiperamonemia (níveis elevados de amónia no sangue), tromboembolismo pulmonar (coágulo de sangue num vaso sanguíneo nos pulmões), tromboembolismo venoso (coágulo de sangue numa veia), sofrimento respiratório (dificuldade em respirar), aumento dos níveis de bilirrubina no sangue (um produto de degradação dos glóbulos vermelhos), aumento dos níveis de enzimas hepáticas (um sinal de problemas com a função hepática), colestase (problemas com o fluxo biliar), colecistite (inflamação da vesícula biliar causada pela bÍlis retida), colelitÍase (cálculos biliares; pedaços endurecidos de bÍlis na vesícula biliar), azotemia (níveis elevados de resíduos de azoto no sangue, um sinal de problemas com a função renal), tromboflebite no local de perfusão (inflamação da veia que recebe a perfusão) e irritação venosa (irritação da veia que recebe a perfusão).

Por que está Maapliv autorizado na UE?

A doença de urina em xarope de bordo é uma doença rara com uma necessidade médica não satisfeita. No momento da autorização de Maapliv, não existiam medicamentos autorizados para o tratamento da própria doença ou de episódios de agravamento súbito da doença, que exigem tratamento urgente. Maapliv é uma mistura de aminoácidos sem BCAA pronta a usar que pode ser administrada por perfusão. Os estudos demonstraram que os aminoácidos sem BCAA, como Maapliv, podem baixar o nível de leucina para o normal nos doentes que sofrem de um agravamento súbito da sua doença. A normalização dos níveis de leucina é uma parte importante do tratamento da doença de urina em xarope de bordo. A administração do medicamento por perfusão também proporciona um

benefício aos doentes que não podem receber tratamento por via oral ou através de um tubo de alimentação. Em termos de segurança, o tratamento com aminoácidos sem BCAA foi bem tolerado e não houve preocupações de segurança com base nos dados disponíveis.

Maapliv foi autorizado em «circunstâncias excecionais». Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Maapliv devido à raridade da doença. A empresa deve fornecer dados adicionais sobre Maapliv. Deve realizar um estudo que analise a eficácia e a segurança de Maapliv no tratamento de episódios de descompensação aguda em doentes com doença de urina em xarope de bordo. A empresa fornecerá igualmente atualizações anuais sobre quaisquer novas informações relacionadas com a segurança e a eficácia do medicamento. A Agência Europeia de Medicamentos procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Maapliv?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Maapliv.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Maapliv são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Maapliv são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Maapliv

A <data de emissão da Autorização de Introdução no Mercado>, Maapliv recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado condicional, válida para toda a UE.

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/maapliv.

Este resumo foi atualizado pela última vez em 06-2025.