



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Maapliv (*L-alanin, L-arginin, L-asparaginsyra, L-cysteinhydrokloridmonohydrat, L-glutaminsyra, glycin, L-histidin, L-lysinmonohydrat, L-metionin, L-fenylalanin, L-prolin, L-serin, taurin, L-treonin, L-tryptofan, L-tyrosin*)

Sammanfattning av Maapliv och varför det är godkänt inom EU

Vad är Maapliv och vad används det för?

Maapliv är ett läkemedel som används för att behandla akuta dekomensationsepisoder (plötsliga försämringar) av lönnsirapsluktsjuka (Maple Syrup Urine Disease, MSUD). Lönnsirapsluktsjuka (MSUD) är en ärftlig sjukdom som gör att kroppen inte kan bryta ner vissa grenade aminosyror (BCAA) som utgör byggstenar i proteiner, däribland leucin, isoleucin och valin. Detta leder till en ansamling av dessa aminosyror i kroppen, även i hjärnan, där framför allt leucin kan leda till hjärnskador.

Maapliv är avsett för patienter som inte kan få BCAA-fria aminosyror via munnen eller via en matningssond.

Lönnsirapsluktsjuka (MSUD) är sällsynt och Maapliv klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 26 oktober 2018. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) [webbplats](#).

Maapliv innehåller följande aminosyror som aktiv substans: L-alanin, L-arginin, L-asparaginsyra, L-cysteinhydrokloridmonohydrat, L-glutaminsyra, glycin, L-histidin, L-lysinmonohydrat, L-metionin, L-fenylalanin, L-prolin, L-serin, taurin, L-treonin, L-tryptofan, L-tyrosin.

Hur används Maapliv?

Maapliv är receptbelagt och behandling ska inledas under övervakning av en läkare med erfarenhet av att behandla lönnsirapsluktsjuka (MSUD).

Läkemedlet ges som en infusion (dropp) i en ven tills nivåerna av leucin har återgått till de normala.

För patienter med allvarlig eller kritisk försämring av sjukdomen och mycket höga nivåer av leucin är behandlingen med Maapliv kanske inte tillräcklig för att sänka leucinnivåerna. De kan därför behöva andra behandlingar såsom hemodialys eller hemofiltrering (förfaranden för att avlägsna avfallsprodukter från blodet).

För mer information om hur du använder Maapliv, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Maapliv?

Maapliv består av en lösning av aminosyror, men utan grenade aminosyror (BCAA). När Maapliv ges till patienten använder kroppen aminosyrorna för att bilda proteiner tillsammans med det överskott av grenade aminosyror som har ansamlats på grund av den plötsligt förvärrade sjukdomen. Detta sänker BCAA-nivån i kroppen och minskar därmed deras toxiska effekt.

Vilka fördelar med Maapliv har visats i studierna?

Företaget har lämnat in uppgifter från fem studier som publicerats i den vetenskapliga litteraturen. Sammanlagt 88 patienter med lönnslupsluktsjuka (MSUD) ingick i studierna som undersökte användningen av en BCAA-fri blandning av aminosyror för att behandla plötsliga försämringar av sjukdomen baserat på höga leucinnivåer. Aminosyrorna var desamma som i Maapliv och gavs antingen som infusion eller genom munnen eller matningssonden. Studierna visade att blandningar av BCAA-fria aminosyror hade sänkt leucinnivåerna till de normala när patienterna lämnade sjukhuset.

Vilka är riskerna med Maapliv?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Maapliv finns i bipacksedeln.

Biverkningarna av BCAA-fria blandningar av aminosyror som har rapporterats i litteraturen (kan förekomma hos upp till 1 av 100 användare) är anafylaktiska eller anafylaktoida reaktioner (plötslig, allvarlig allergisk reaktion), överkänslighet (allergisk reaktion), hyperammonemi (höga ammoniaknivåer i blodet), pulmonell tromboembolism (blodpropp i ett blodkärl i lungorna), venös tromboembolism (blodpropp i en ven), andnöd (andningssvårigheter), förhöjda nivåer av bilirubin i blodet (en nedbrytningsprodukt från röda blodkroppar), förhöjda nivåer av leverenzymerna (ett tecken på problem med leverfunktionen), kolestas (problem med gallflödet), kolecystit (inflammation i gallblåsan på grund av instängd galla), kolelitis (gallstenar; förhårdnade bitar av galla i gallblåsan), azotemi (höga nivåer av restprodukter av kväve i blodet, ett tecken på njurproblem), tromboflebit vid infusionsstället (inflammation i den ven som mottar droppet) och venös irritation (irritation i den ven som mottar droppet).

Varför är Maapliv godkänt i EU?

Lönnslupsluktsjuka (MSUD) är en sällsynt sjukdom med ett icke tillgodosett medicinskt behov. Vid tidpunkten för godkännandet av Maapliv fanns det inga läkemedel som var godkända för behandling av sjukdomen i sig eller episoder av plötslig försämring av sjukdomen som kräver akut behandling. Maapliv är en färdig blandning av BCAA-fria aminosyror som kan ges genom infusion. Studier har visat att BCAA-fria aminosyror som Maapliv kan sänka leucinnivån till det normala för patienter vars sjukdom plötsligt försämras. Normalisering av leucinnivåerna är en viktig del av behandlingen av lönnslupsluktsjuka (MSUD). Att ge läkemedlet genom infusion innebär också en fördel för patienter som inte kan ta behandlingen genom munnen eller matningssonden. Vad gäller säkerheten tolererades behandlingen med BCAA-fria aminosyror väl och det fanns inga säkerhetsproblem baserat på de tillgängliga uppgifterna.

Maapliv har godkänts i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall". Detta innebär att det inte varit möjligt att få fullständig information om Maapliv eftersom sjukdomen är sällsynt. Företaget måste lämna in ytterligare uppgifter om Maapliv. Företaget måste utföra en studie som undersöker Maaplivs effekt och säkerhet vid behandling av akuta dekompositionsepisoder hos patienter med lönnslupsluktsjuka (MSUD). Företaget kommer också att lämna in årliga uppdateringar om eventuell

ny information om läkemedlets säkerhet och effekt. EMA kommer att granska ny information om produkten varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Maapliv?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Maapliv har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Maapliv kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Maapliv utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Maapliv

Den [datum] beviljades Maapliv ett godkännande för försäljning i enlighet med reglerna om "godkännande i undantagsfall" som gäller i hela EU.

Mer information om Maapliv finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 06-2025.