



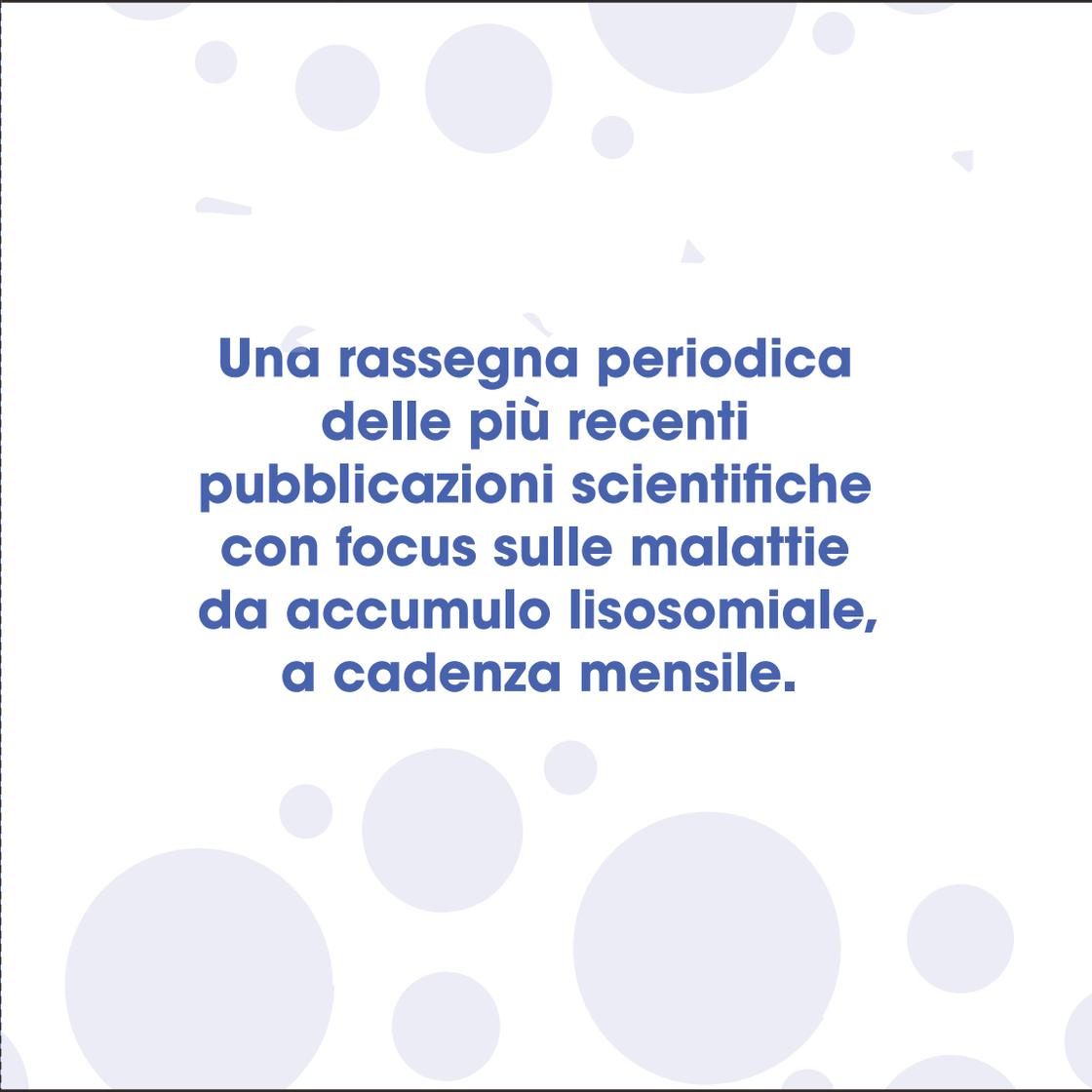
**LYS  
JOURNAL**

**LA RASSEGNA  
SELEZIONATA PER TE**

**sanofi**

Scansiona il QR code  
per accedere a **Lyso Journal**.





**Una rassegna periodica  
delle più recenti  
pubblicazioni scientifiche  
con focus sulle malattie  
da accumulo lisosomiale,  
a cadenza mensile.**

# Per area terapeutica

Per data di pubblicazione

**Lyso Journal**  
La rassegna selezionata per te

Lyso Journal è una rassegna periodica delle più recenti pubblicazioni scientifiche con focus sulle malattie da accumulo lisosomiale, a cadenza quindicinale, scopri come funziona.

Malattia di Gaucher   Malattia di Fabry   Malattia di Pompe   **MPS I**   ASMD

Giugno

**Novel approach to idursulfase and laronidase desensitization in type 2 and type 1 S MPS**  
Ispettore F 44-65, Organismo F. 44-65, 2022, issue 2 (15) 3-4-6-8.  
PUBBLICITÀ INVIATA AI MEDICI REGISTRATI IN AIFA E 24/05/2022.  
VERBA LA DISTRIBUZIONE/ESPORZIONE AL PUBBLICO  
COD. MAF-01-202018

**Nuovo approccio alla desensibilizzazione con idursulfasi e laronidasi nella MPS di tipo 2 e di tipo 1 S**

Idursulfasi e laronidasi sono farmaci usati per trattare rispettivamente la sindrome di Hunter e la sindrome di Scheie. Dato che la somministrazione di queste proteine può essere associata a reazioni di ipersensibilità correlate all'infusione, è stata utilizzata una rapida desensibilizzazione mediante protocolli di somministrazione endovenosa.

**Contribution of vesicle trafficking dysregulation to the pathomechanism of mucopolysaccharidosis**  
Gaffurio I. et al. Biochem Biophys Res Commun. 2022 Apr; 530:1051-1057

**Contributo della disregolazione del traffico di vescicole al meccanismo patologico della mucopolisaccaridosi**

Studio che ha avuto l'obiettivo di fornire un quadro maggiormente comprensivo dei cambiamenti relativi alle espressioni dei geni correlati al traffico vescicolare nelle cellule di pazienti con MPS I.

Maggio

Aprile

Mars



Navigando nell'**area riservata ai medici** è possibile accedere all'**archivio delle rassegne già pubblicate.**



# 2

Cliccando sul titolo  
di interesse,  
si potrà **consultare**  
**l'abstract tradotto in italiano.**

Attraverso l'apposito link  
è inoltre possibile richiedere  
maggiori informazioni al nostro  
servizio di medical information,  
tra cui la possibilità di ricevere  
approfondimenti, il reattivo full-text o  
ricerche bibliografiche specifiche.



Novel approach to idursulfase and laronidase desensitization in type 2 and type 1 S mucopolysaccharidosis (MPS)

Spaseno F, Maggioni F, Moechlin DO et al. Novel approach to idursulfase and laronidase desensitization in type 2 and type 1 S mucopolysaccharidosis (MPS). *Orphanet J Rare Dis*. 2022 Nov 31;17(1):402.

sanofi

#### ABSTRACT

**Introduzione:** Idursulfasi e laronidasi sono farmaci usati per fornire rimpiazzamento a **sintomi di Hunter** (mucopolisaccaridosi di tipo 2) e la sindrome di Hunter (mucopolisaccaridosi di tipo 1). Questo sono **rare malattie da accumulo lisosomiale**, che portano all'**accumulo di glicosaminoglicani** all'interno dei tessuti e in corso l'insorgenza precoce della malattia e/o ritardo nell'inizio del trattamento ad appropriate prevenzione grave compromissione clinica a morte. Nel 2020 circa 10 famiglie studiate soffrivano di protuberanze ricombinanti ha rappresentato un'opzione terapeutica di prima linea. Tuttavia, la somministrazione di idursulfasi e laronidasi è associata a **reattività di ipersensibilità** conosciuta all'inizio, in circa il 20% dei pazienti. In questi pazienti è stata adottata una **regime desensibilizzazione** mediante protocolli di somministrazione endovenosa di fine di evitare l'interruzione del trattamento. Questo **approccio** si è dimostrato **efficace e sicuro** fino a stato può possibile raggiungere la tolleranza a lungo termine. Tuttavia, è il grado di **combinamento desensibilizzazione rapida** con la **desensibilizzazione lenta** all'immunoterapia degli allergeni.

**Risultati:** Due pazienti con sintomi di Hunter e un paziente con sindrome di Hunter hanno sviluppato una **grave allergia** rispettivamente di tipo 2 e tipo 1 olo laronidasi. Impedendo loro di continuare la terapia all'interno l'ospedale, in tutti i tre pazienti, la possibile notare una **regime desensibilizzazione rapida** è stato supportato dai test cutanei positivi con i due farmaci, rispettivamente. Successo i protocolli di **desensibilizzazione rapida** in 12 ore in 3 situazioni, è stato l'ipotesi lo tempo endovenosa struttura. Tuttavia, il tempo

prolungato richiesto per la somministrazione (in un caso non tollerabile) poiché lo tempo dovrebbe essere amministrato settimanalmente per tutto lo vita e il persistente verificarsi di reazioni lievi ma che richiedono ancora farmaci antiallergici (antagonisti H1) hanno portato a **combinare una regime desensibilizzazione con un protocollo di desensibilizzazione lenta all'immunoterapia allergenica in 15 fasi e 24 giorni**. Invece, idursulfasi e laronidasi sono stati inseriti per via sottocutanea, con un numero di 102 volte sotto fase 1 (da fase 1 per idursulfasi e un aumento di 222 volte per la laronidasi). Questo strategia ha portato al **ripetuto della tolleranza a lungo termine** (comparsa di 15 desensibilizzazioni) e tolleranza della terapia endovenosa in condizioni stazionarie, secondo le istruzioni del produttore, in assenza di effetti collaterali e con solo premedicazione pre-azione da bassa allergia.

#### CONCLUSIONI

La **desensibilizzazione rapida** è un'opzione **adatta e sicura** in caso di **allergie all'idursulfasi e alla laronidasi**. La **combinazione** con la **desensibilizzazione lenta** all'immunoterapia con allergeni sottocutanei **ha permesso il ripetuto della terapia endovenosa sintomatica** somministrata secondo il normale schema di somministrazione, **introducendo una tolleranza sostenuta**.

#### IL RINGRAZIAMENTO

La **desensibilizzazione rapida** è un'opzione adatta e sicura in caso di allergie all'idursulfasi e alla laronidasi. La combinazione con la desensibilizzazione lenta all'immunoterapia con allergeni sottocutanei ha permesso il ripetuto della terapia endovenosa sintomatica somministrata secondo il normale schema di somministrazione, introducendo una tolleranza sostenuta.

Publicità rivolta ai medici depositata in AIFA il 26/04/2023, n° 19334. L'informazione è in possesso di Sanofi. Codice attività: 040004-MAT-11-230505

Per maggiori informazioni chiedi a Medinfo

RCP INCLUSO



Al click si aprirà  
automaticamente una mail.

Basterà **compilare i campi  
necessari** e cliccare 'invio' **per  
ricevere le informazioni richieste.**

LYS  
JOURNAL

**È ANCHE  
NEWSLETTER**

**Per ricevere l'aggiornamento**  
quando sono disponibili nuovi  
articoli, **è sufficiente acconsentire**  
**al servizio** sul portale dedicato.



**Inquadra il QRCode in alto  
per scoprire come!**

# LYS JOURNAL

Codice deposito aziendale: MAT-IT-2301579  
Codice magazzino: 10027221

sanofi