

AIPaCa – das neue *Alexion Patient Care Program* für Menschen mit seltenen Erkrankungen

München. 14. Januar 2025. Seltene Erkrankungen sind herausfordernd – sowohl für Patient:innen als auch für Ärzt:innen. Mit dem *Alexion Patient Care Program (AIPaCa)* bietet Alexion Betroffenen und ihren Angehörigen einen kostenfreien Informations- und Betreuungsservice, von dem auch die betreuenden Ärzt:innen profitieren.

Seltene Erkrankungen stellen besondere Herausforderungen an das Gesundheitswesen. Auch wenn einzelne Erkrankungen selten sind, ist die Gesamtzahl der Betroffenen aufgrund der Vielzahl an verschiedenen Erkrankungen hoch.¹ Alleine in Deutschland leben etwa vier Millionen Menschen mit seltenen Erkrankungen.² Es gibt jedoch nur wenige Expert:innen, die auf die jeweilige seltene Erkrankung spezialisiert sind. Auch die Wege zu guten Behandlungs- und Betreuungsmöglichkeiten sind nicht immer leicht zu finden.¹ All dies kann dazu führen, dass Betroffene sich mit ihrer Erkrankung allein gelassen fühlen und es zu Verzögerungen bei der Behandlung kommt. Ein unterstützendes Umfeld kann für sie ähnlich wichtig sein wie der:die richtige Ärzt:in und die adäquate medizinische Behandlung. AIPaCa bietet Betroffenen und ihren Angehörigen Informationen, Orientierung und individuelle Unterstützung bei einer Vielzahl an seltenen Erkrankungen (s. Infokasten) – als Zusatz zur medizinischen Behandlung.



AIPaCa – vorteilhaft für Patient:innen und Ärzt:innen

AIPaCa unterstützt Patient:innen umfassend und stellt ihnen umfangreiche Informationsmaterialien in Form von Broschüren und Artikeln zur Verfügung, mit denen sie ihr Wissen zur Erkrankung und zum Alltag erweitern und weitere Ansprechpartner:innen finden können. Eine kostenlose Telefon-Hotline ist rund um die Uhr erreichbar. Darüber hinaus steht den Patient:innen ein persönlicher Coach zur Seite, der ihnen per Telefon oder Videocall bei Alltagsfragen, Informationen zur Erkrankung oder der Suche nach Unterstützung hilft. Für medizinische Fragen bleibt der:die behandelnde Ärzt:in zuständig. Um die Einnahme von

Arzneimitteln oder wichtige Arzttermine nicht zu verpassen, können Patient:innen die Erinnerungsfunktion in Anspruch nehmen. Diese informiert sie pünktlich per SMS, E-Mail oder Anruf. Die Nutzung von AIPaCa ist dabei unabhängig von der eingesetzten Arzneimitteltherapie.

Von der guten Informationsversorgung profitieren letztlich auch die betreuenden Ärzt:innen: Die Unterstützung, die ihre Patient:innen erhalten, kann deren Ängste im Zusammenhang mit ihrer Erkrankung vermindern. Das wiederum erleichtert die Behandlung. Ärzt:innen werden entlastet und können sich auf die medizinische Behandlung konzentrieren. Für Patient:innen, die eine Therapie von Alexion erhalten, gibt es zusätzliche Informationen und Angebote.

AIPaCa ist für Patient:innen und deren Angehörige mit folgenden seltenen Erkrankungen:

- **Atypisches hämolytisch-urämisches Syndrom (aHUS)**, gekennzeichnet durch die Trias mikroangiopathischer hämolytischer Anämie, Thrombozytopenie und akuter Nierenschädigung, bedingt durch ein Versagen der Komplementregulation.³
- **Lysosomale saure Lipase-Defizienz (LAL-D)**, eine lebensbedrohliche genetische Stoffwechselerkrankung, bei der sich aufgrund des Mangels an dem Enzym lysosomale saure Lipase Fette und Cholesterinester übermäßig in verschiedenen Geweben anhäufen und zu Organschäden führen.⁴
- **Hypophosphatasie (HPP)**, bei der durch eine Fehlfunktion des Enzyms Alkalische Phosphatase der Knochenaufbau gestört ist, und es infolgedessen zu Schmerzen, Zahnausfall, wiederholten Frakturen und anderen orthopädischen Problemen kommen kann.^{5,6}
- **Myasthenia gravis (MG)**, eine chronische Autoimmunerkrankung, die zu einer belastungsabhängigen Muskelschwäche und -ermüdbarkeit führt. Dies zeigt sich u.a. in hängenden Augenlidern, Doppelbildern, Schwierigkeiten beim Sprechen, Schlucken oder Atmen.⁷
- **Neurofibromatose Typ 1 (NF1)**, eine genetische Erkrankung, bei der multiple kutane oder plexiforme (PN) Neurofibrome entstehen. Das Wachstum der PNs verursacht Schmerzen, Skoliose, und Tumorprädisposition, was zu einer verkürzten Lebenserwartung führt.⁸
- **Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen (NMOSD)**, die aufgrund von antikörpervermittelten Entzündungen des Rückenmarks, des Sehnervs oder bestimmter Hirnareale zu Sehverlust, Rollstuhlabhängigkeit oder Tod führen können und eine wichtige Differentialdiagnose zur Multiplen Sklerose sind.⁹
- Die **Paroxysmale Nächtliche Hämoglobinurie (PNH)** resultiert aus einer chronischen Zerstörung der roten Blutkörperchen durch das Komplementsystem. Die Folgen können u.a. schwere Nierenschäden und hepatische, zerebrale oder abdominale Thrombosen sein.¹⁰

Unter www.alpaca-program.de können Sie selbst die verschiedenen Services von AIPaCa kennenlernen.

Alexion

Alexion, AstraZeneca Rare Disease, ist der Unternehmensbereich von AstraZeneca, der auf seltene Krankheiten spezialisiert ist und 2021 durch die Übernahme von Alexion Pharmaceuticals, Inc. entstand. Alexion ist seit über 30 Jahren führend auf dem Gebiet der seltenen Erkrankungen und hat das Ziel, Patient:innen und Familien, die von schwerwiegenden seltenen Erkrankungen betroffen sind, durch die Entdeckung, Entwicklung und Verbreitung von lebensverändernden Medikamenten zu helfen. Alexion konzentriert seine Forschungsaktivitäten auf neuartige Moleküle und Zielmoleküle in der Komplementkaskade und seine Entwicklungsaktivitäten auf die Bereiche Hämatologie, Nephrologie, Neurologie, Stoffwechselstörungen, Kardiologie und Ophthalmologie. Mehr unter www.alexion.de.

AstraZeneca

Die AstraZeneca GmbH ist die deutsche Tochtergesellschaft des britisch-schwedischen Pharmaunternehmens AstraZeneca PLC. AstraZeneca (LSE/STO/Nasdaq: AZN) ist ein

globales, wissenschaftsorientiertes biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von verschreibungspflichtigen Medikamenten in den Bereichen Onkologie, seltene Krankheiten und Biopharmazeutika, einschließlich Herz-Kreislauf, Nieren und Stoffwechsel sowie Atemwege und Immunologie, konzentriert. AstraZeneca mit Sitz in Cambridge, Großbritannien, ist in über 100 Ländern tätig. Die innovativen Medikamente des Unternehmens werden von Millionen von Patient:innen weltweit eingesetzt. Weitere Informationen auf www.astrazeneca.de.

Alexion Kontakt

Stephanie Ralle-Zentgraf
Director, Communications Germany
Alexion Pharma Germany GmbH

MOBILE +49 160.99560808

E-MAIL stephanie.ralle-zentgraf@alexion.com |

Referenzen

1. Bundesgesundheitsministerium. <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html>. Letzter Zugriff: 07.01.2025.
2. Gelbe Liste. <https://www.gelbe-liste.de/seltene-erkrankungen/seltene-erkrankungen-haeufiger-als-gedacht>. Letzter Zugriff: 07.01.2025.
3. Zhang K et al. Hematol Rep. 2017; 9:7053.
4. Strebinger G et al. Hepat Med. 2019; 11:79–88.
5. Watanabe H et al. J Bone Miner Res. 2002; 17:1945–8.
6. Conti F et al. Clin Cases Miner Bone Metab. 2017; 14:230–4.
7. Beloor Suresh A und Asuncion RMD. Myasthenia Gravis. [Updated 2023 Aug 8]. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2024 Jan.
8. Adil A et al. Neurofibromatosis Type 1. [Updated 2023 Aug 13]. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2024 Jan.
9. Huda S et al. Clin Med (Lond). 2019; 19:169–76.
10. Shah N und Bhatt H. Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. [Updated 2023 Jul 31]. In: StatPearls [Internet]. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2024 Jan.