



## **Preguntas más frecuentes**

Es normal que los pacientes, sus padres, cuidadores y profesionales médicos tengan preguntas acerca de un tratamiento tan singular como KUVAN. Haga clic en el vínculo de abajo para obtener más detalles acerca de KUVAN.

### **Preguntas más frecuentes acerca de KUVAN**

Además de la **Información general de los Programas de apoyo y ayuda al paciente de KUVAN**, puede encontrar más información al hacer clic en los vínculos siguientes:

**Preguntas más frecuentes acerca del BioMarin Patient and Physician Support Program (Programa de apoyo a médicos y pacientes de BioMarin o BPPS, por sus siglas en inglés)**

**Preguntas más frecuentes acerca de las Farmacias especializadas**

**Preguntas más frecuentes acerca del KUVAN Patient Assistance Program (Programa de ayuda al paciente de KUVAN o K-PAP, por sus siglas en inglés)**

**Preguntas más frecuentes acerca de la National Organization for Rare Disorders (Organización Nacional para Enfermedades Raras o NORD, por sus siglas en inglés)**

## **Preguntas más frecuentes acerca de KUVAN**

**¿Qué es KUVAN?**

**¿Qué función cumple la BH4 en el cuerpo?**

**¿Cómo funciona KUVAN?**

**¿Por qué debo considerar a KUVAN?**

**¿Da KUVAN resultado en todas las personas?**

**¿Seguirá KUVAN teniendo efecto con el paso del tiempo?**

**¿Qué ocurre si no respondo a KUVAN?**

**¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de KUVAN?**

**¿Qué debo decirle a mi médico?**

**¿Cómo debo almacenar el envase de KUVAN?**

**¿Qué es KUVAN?**

KUVAN es un medicamento para la fenilcetonuria (PKU, por sus siglas en inglés).

Funciona como la BH4, una sustancia que el cuerpo produce de forma natural.

**¿Qué función cumple la BH4 en el cuerpo?**

Normalmente, la BH4 ayuda a que funcione la enzima conocida como PAH (abreviatura de fenilalanina hidroxilasa). La enzima PAH procesa el aminoácido fenilalanina que se encuentra en muchos alimentos y lo transforma en otra sustancia química que el cuerpo necesita, la tirosina. En la fenilcetonuria, la enzima PAH no funciona, lo cual permite la acumulación excesiva de fenilalanina en la sangre. Si esta condición no se trata, con el tiempo puede afectar el cerebro.

**¿Cómo funciona KUVAN?**

En algunos pacientes KUVAN aumenta la actividad de la enzima PAH que no está funcionando correctamente. Dicho de otra manera, la enzima PAH que no está funcionando se “despierta” y empieza a procesar la fenilalanina en algunos pacientes

que padecen de fenilcetonuria. Esto ayuda a disminuir los niveles de fenilalanina en la sangre de dichos pacientes.

### **¿Por qué debo considerar a KUVAN?**

Seguir una dieta restringida en fenilalanina es todo un reto, como también lo es mantener constantemente bajo su nivel de fenilalanina. Una dieta con bajo contenido de fenilalanina permite que una cierta cantidad de ésta ingrese al torrente sanguíneo a través de la comida que consume. KUVAN, junto con una dieta restringida en fenilalanina, le ayuda a disminuir el nivel de fenilalanina en la sangre y mantenerlo bajo semana tras semana. KUVAN aborda el problema desde un ángulo distinto al de la dieta. Funciona al estimular a la enzima PAH para que degrade la fenilalanina que está presente en el cuerpo, reduciendo así sus niveles sanguíneos de fenilalanina.

### **¿Funciona KUVAN en todas las personas?**

KUVAN no funciona en todas las personas. Sin embargo, en estudios clínicos se ha encontrado que algunas personas con fenilcetonuria leve, moderada y aún severa han respondido al tratamiento con KUVAN. No hay forma de saber si KUVAN le dará resultado hasta que comience a tomarlo. Su médico determinará si KUVAN le está dando resultado o no al revisar si disminuye su nivel de fenilalanina en la sangre mientras mantiene constante la dieta restringida en fenilalanina.

### **¿Seguirá KUVAN teniendo efecto con el paso del tiempo?**

Sí. En estudios clínicos el beneficio de KUVAN continuó todo el tiempo que duró el estudio. KUVAN ha sido estudiado durante períodos de 1 a 30 semanas.

### **¿Qué ocurre si al inicio no respondo a KUVAN?**

Si inicialmente no responde a KUVAN, es posible que su médico considere otro estudio de KUVAN si hay motivos para creer que la dieta, cambios en el consumo de alimentos, u otros factores que afectan el nivel sanguíneo de la fenilalanina (como la

fiebre o una enfermedad) puedan haber afectado sus resultados. Desafortunadamente, KUVAN puede no dar resultado en todas las personas.

### **¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de KUVAN?**

En los estudios clínicos, los efectos secundarios en pacientes tratados con KUVAN generalmente se presentaron en la misma proporción que en los pacientes tratados con placebo (una pastilla que no contiene medicina).

Los efectos secundarios más comunes reportados al tomar KUVAN incluyeron:

- Dolor de cabeza
- Diarrea
- Dolor abdominal
- Infecciones en las vías respiratorias superiores (como un resfriado)
- Dolor de garganta
- Vómitos
- Náuseas

Los efectos secundarios enumerados no son todos los que se han observado con KUVAN. Si tiene alguna pregunta acerca de estos u otros efectos secundarios, hable con su médico o farmacéutico.

También infórmele a su médico si presenta algún efecto secundario al tomar KUVAN.

Para obtener más información, consulte el Folleto informativo para el paciente que viene incluido en el envase de KUVAN.

### **¿Qué debo decirle a mi médico antes de tomar KUVAN?**

Antes de tomar KUVAN, infórmele a su médico si presenta lo siguiente:

- Tiene fiebre.
- Está embarazada o tiene planeado embarazarse.

- Está amamantando.
- Tiene o tuvo problemas de hígado o riñón.
- Es alérgico a KUVAN o a algún otro medicamento.
- Está desnutrido o anoréxico.
- Está tomando levodopa.
- Está tomando algún medicamento que inhibe el metabolismo del ácido fólico como metotrexato, porque estos medicamentos podrían afectar la forma en la que KUVAN actúa en el cuerpo.
- Está tomando medicamentos para la disfunción eréctil como Viagra (sildenafil), Levitra (vardenafil) o Cialis (tadalafil).

También debe informarle a su médico sobre cualquier otra medicina que esté tomando, incluidas las recetadas y las de venta libre, las vitaminas y los suplementos de hierbas. KUVAN y muchas otras medicinas pueden interactuar entre sí. Su médico necesita saber qué medicinas toma para poder decidir si KUVAN está indicado para usted.

### **¿Cómo debo almacenar el envase de KUVAN?**

- Guárdelo en un lugar fresco y seco entre 68 °F y 77 °F (20 °C – 25 °C), con la tapa bien cerrada.
- No deje el envase de KUVAN en un lugar caliente o húmedo (como el automóvil o el botiquín del baño).
- Protéjalo de la humedad. No retire el desecante (la bolsita que viene incluida con las tabletas). El desecante absorbe la humedad.
- Con el tiempo, el color de las tabletas puede cambiar a amarillo claro. Esto es normal y puede continuar tomando estas tabletas.
- No conserve KUVAN que haya caducado o que ya no necesite. Si tira una medicina, asegúrese de que quede fuera del alcance de los niños.
- Recuerde mantener a KUVAN y todas las demás medicinas fuera del alcance de los niños.

## **Preguntas más frecuentes acerca del BPPS (Programa de apoyo a médicos y pacientes de BioMarin o BPPS, por sus siglas en inglés)**

**¿Cuál es el horario de atención al público del BPPS?**

**¿Quién es candidato para el BPPS?**

**¿Es el BPPS sólo para familias de bajos ingresos o que no tienen seguro?**

**¿Y si sólo quiero probar KUVAN antes de involucrar a mi compañía de seguros o al BPPS?**

**¿De qué manera ayuda el BPPS a los pacientes que puedan estar preocupados acerca del copago o coaseguro que deben desembolsar por KUVAN?**

**¿Qué puede hacer el BPPS para ayudar a los pacientes que no tienen cobertura para KUVAN?**

**¿Qué es una autorización previa?**

**¿Qué ocurre si mi compañía de seguros no autoriza la cobertura de KUVAN?**

**¿Cómo puede ayudar el BPPS a los pacientes que tienen problemas porque se agotó el tope que tienen por vida?**

**¿Puede el BPPS ayudar si cambia la cobertura del seguro médico del paciente? Una vez que tengo un administrador de casos, ¿puedo comunicarme con BPPS por correo electrónico?**

**¿Qué debo hacer si el BPPS se comunica conmigo por teléfono o por carta?**

**¿Qué hace el BPPS para mantener actualizados a los profesionales médicos durante el proceso de la referencia inicial?**

**¿Qué hace el BPPS para mantener actualizados a los pacientes durante el proceso de la referencia inicial?**

**¿Los pacientes y los profesionales médicos hablan con la misma persona o se dirigen a diferentes personas cuando se comunican con el BPPS?**



---

### **¿Cuál es el horario de atención al público del BPPS?**

Los teléfonos son atendidos de lunes a viernes, de 7 A.M. a 4 P.M. (hora del Pacífico). Las llamadas que se reciben después del horario de atención se dirigen a una máquina en donde se puede dejar un mensaje en español o inglés. Todos los mensajes son respondidos a más tardar en un día hábil. También puede comunicarse con el BPPS por fax al 1-888-863-3361. Los pacientes y los profesionales médicos también pueden enviar un correo electrónico al BPPS ([bpps@BMRN.com](mailto:bpps@BMRN.com)) a cualquier hora para programar un horario específico de seguimiento.

### **¿Quiénes son candidatos para el BPPS?**

Si su médico y usted han decidido que debe probar KUVAN, entonces usted califica. Debido a que KUVAN es el primer medicamento recetado para el tratamiento de la fenilcetonuria, obtener la cobertura del seguro por su cuenta puede ser un proceso lento y difícil, incluso con los mejores planes de seguro. El BPPS se creó para facilitar el proceso de aprobación del seguro y hacerlo más rápido.

### **¿Es el BPPS sólo para familias de bajos ingresos o que no tienen seguro?**

No. El BPPS es una parte integral de su tratamiento con KUVAN, independientemente del seguro o nivel de ingresos que tenga. Todos los pacientes a los que se les haya recetado KUVAN tendrán que pasar por el proceso del BPPS antes de recibir el medicamento.

### **¿Y si sólo quiero probar KUVAN antes de involucrar a mi compañía de seguros o al BPPS?**

Todos los pacientes a los que se les recete KUVAN tendrán que pasar por el BPPS. BioMarin no proporciona muestras de KUVAN. Debido a que no es posible predecir si usted responderá o no al medicamento hasta que haya estado bajo tratamiento durante un periodo de tiempo, necesita asegurarse de contar con la cobertura del seguro antes de empezar a tomar KUVAN.

### **¿De qué manera ayuda el BPPS a los pacientes que están preocupados por el costo del deducible que deben pagar por KUVAN?**

El BPPS puede referir a los pacientes a la “*National Organization for Rare Disorders*” (Organización Nacional para Enfermedades Raras o NORD, por sus siglas en inglés), una organización que se especializa en ofrecer ayuda a pacientes con enfermedades raras. La organización NORD ha establecido un fondo que ofrece ayuda para la prima y el copago del seguro de los pacientes que están bajo tratamiento con medicamentos recetados para la fenilcetonuria, así como para otros gastos directamente relacionados con el tratamiento de la enfermedad. Para obtener información general de la NORD, haga clic [aquí](#). Para Preguntas más frecuentes acerca de la NORD, haga clic [aquí](#).

### **¿Qué puede hacer el BPPS para ayudar a los pacientes que no tienen cobertura para KUVAN?**

Como último recurso, el BPPS puede referir a los pacientes al “*KUVAN Patient Assistance Program*” (Programa de ayuda al paciente de KUVAN o K-PAP, por sus siglas en inglés), un programa que surte KUVAN de forma gratuita a pacientes sin cobertura de seguro y que reúnen ciertos requisitos. Para obtener información general del K-PAP, haga clic [aquí](#). Para ver otras Preguntas más frecuentes acerca del K-PAP, haga clic [aquí](#).

### **¿Qué es una autorización previa?**

Puede que algunas compañías de seguros tengan que aprobar el tratamiento de un paciente con KUVAN antes de que se inicie. A esta aprobación se le llama “autorización previa”. Por lo general, la compañía de seguros solicitará que el médico del paciente les proporcione una Carta de necesidad médica o información médica que explique por qué el médico quiere que el paciente inicie este tratamiento.

### **¿Qué ocurre si mi compañía de seguros no autoriza la cobertura de KUVAN?**

Si la compañía aseguradora niega la cobertura de KUVAN, rechaza la solicitud de autorización previa sometida por el médico o simplemente no va a cubrir el costo del

medicamento, el BPPS trabajará para ayudar al paciente y a su médico a preparar y presentar una apelación ante la compañía aseguradora. La apelación describirá por qué el paciente debería recibir KUVAN y cómo puede beneficiarle. Una apelación se usa para persuadir a la compañía aseguradora que permita la cobertura y el acceso a KUVAN, y para asegurarse de que ésta tenga toda la información necesaria. Las decisiones de cobertura variarán según la compañía de seguros. Si la apelación es rechazada, el BPPS seguirá colaborando con el paciente para explorar otras opciones de acceso a KUVAN.

**¿Cómo puede ayudar el BPPS a los pacientes que tienen problemas porque se agotó el tope de seguro que tienen por vida?**

El BPPS puede ayudar a los pacientes bajo tratamiento con KUVAN a investigar fuentes alternativas de cobertura de seguro. Para obtener más información los pacientes pueden llamar sin cargo alguno al: **1-877-MY-KUVAN (1-877-695-8826)** o enviar un correo electrónico a [bpps@BMRN.com](mailto:bpps@BMRN.com).

**¿Puede ayudar el BPPS si cambia la cobertura del seguro médico del paciente?**

El BPPS está disponible para ayudar a los pacientes que reciben KUVAN a evaluar diferentes opciones de seguro y los alienta a que se pongan en contacto con el programa cuando tienen preguntas relacionadas con la receta vigente, cuando un niño pierde la cobertura del seguro de sus padres o cuando ocurren otros cambios en la cobertura del seguro médico. Para obtener más información los pacientes pueden llamar sin cargo alguno al **1-877-MY-KUVAN (1-877-695-8826)** o enviar un correo electrónico a [bpps@BMRN.com](mailto:bpps@BMRN.com).

**Una vez que tengo un administrador de casos, ¿puedo comunicarme con BPPS por correo electrónico?**

Sí. Todos los administradores de casos del BPPS cuentan con una dirección de correo electrónico segura y dedicada para el uso de los pacientes y los profesionales médicos. El BPPS se compromete a responder los mensajes electrónicos personales en un lapso



---

de un día hábil. Instamos a las personas, cuyas inquietudes sobre el tema requieran una atención más inmediata, a que llamen a la línea de asistencia directa de KUVAN al **1-877-MY-KUVAN (1-877-695-8826)**.

**¿Qué debo hacer si el BPPS se comunica conmigo por teléfono o por carta?**

Devuelva la llamada o la documentación completada lo más pronto posible. Iniciar el tratamiento con KUVAN requiere varios pasos, y pueden surgir preguntas durante el proceso. El BPPS mantiene contacto frecuente con los pacientes y los profesionales médicos durante el proceso para proporcionarles reportes del estado, responder preguntas y obtener la información necesaria para continuar el proceso.

**¿Qué hace el BPPS para mantener actualizados a los pacientes durante el proceso de la referencia inicial?**

Una vez que el BPPS recibe el formulario firmado de autorización del paciente, se comunica con el paciente en un lapso de 1 día hábil para establecer contacto con un administrador de casos. Después del contacto inicial por teléfono, el BPPS se comunica con el paciente para conversar sobre los resultados de la investigación de beneficios para KUVAN, identificar planes para reunir los requisitos que tiene el seguro médico para la cobertura o conversar sobre las inquietudes del paciente respecto a las cuestiones económicas relacionadas con el tratamiento. Después de iniciado el tratamiento con KUVAN, el BPPS proporciona información acerca del caso del paciente según se requieran.

**¿Qué hace el BPPS para mantener informados a los profesionales médicos durante el proceso de la referencia inicial del paciente?**

Una vez que el BPPS recibe la Declaración firmada de necesidad médica o el Formulario de la receta, ese mismo día envía por fax un acuse de recibo al profesional médico que refirió al paciente. Después de la notificación de la referencia, el BPPS envía un fax semanalmente en el que se describe el estado del proceso de reembolso, y posteriormente lista el nombre y el teléfono de la farmacia especializada que le



despacha KUVAN al paciente. A los pacientes autorizados para recibir el tratamiento inicial se les solicita que se pongan en contacto con su profesional médico para conversar sobre el comienzo del tratamiento. El BPPS se comunica con los profesionales médicos que refieren al paciente en caso de necesitar ayuda adicional (por ejemplo: expedientes médicos actualizados, confirmación de las recetas o ayuda para responder preguntas del seguro médico).

**¿Los pacientes y los profesionales médicos hablan con la misma persona o se dirigen a diferentes personas cuando se comunican con el BPPS?**

La meta es que los profesionales médicos y los pacientes de una clínica en particular trabajen con el mismo administrador de casos. Todas las llamadas al BPPS son dirigidas a través de un sólo número de teléfono gratuito para asegurarse de que sean atendidas por la persona correcta. Los correos electrónicos llegan directamente a los administradores de casos.

## **Preguntas más frecuentes acerca de las farmacias especializadas**

**¿Qué debo hacer si se me está acabando el suministro de KUVAN y la farmacia especializada que me surte no me ha llamado para programar un nuevo envío?**

**¿Qué debo hacer si necesito comunicarme con la farmacia especializada en la noche o durante el fin de semana?**

**¿Pueden las farmacias especializadas responder preguntas específicas acerca de KUVAN o de la fenilcetonuria?**

**¿Puede comunicarse el paciente con la farmacia especializada después de recibir el envío inicial de KUVAN?**

**¿Pueden comunicarse los profesionales médicos con la farmacia especializada después de que el paciente recibe el envío inicial de KUVAN?**

**¿Qué debo hacer si no puedo estar presente para firmar la recepción del envío o si necesito un suministro de emergencia?**

**¿Quién presenta la solicitud de reembolso ante mi compañía de seguros?**

**¿Se suspenderán los envíos de KUVAN si el paciente no responde al tratamiento?**

**¿Qué debo hacer si se me está acabando el suministro de KUVAN y la farmacia especializada que me surte no me ha llamado para programar un nuevo envío?**

Comuníquese con el BPPS por teléfono al **1-877-MY-KUVAN (1-877-695-8826)** o por correo electrónico a [bpps@BMRN.com](mailto:bpps@BMRN.com). Los administradores de casos del BPPS están para ayudarle de lunes a viernes, de 7 A.M. a 4 P.M. (hora del Pacífico).

**¿Qué debo hacer si necesito comunicarme con la farmacia especializada en la noche o durante el fin de semana?**

Comuníquese con su farmacia especializada al teléfono que le proporcionen para atención “después del horario de atención al público”.

**¿Pueden las farmacias especializadas responder preguntas específicas acerca de KUVAN o de la fenilcetonuria?**

No. Aunque las farmacias especializadas pueden proporcionarle información general sobre cómo disolver o guardar KUVAN en base a la información de prescripción del producto, el BPPS lo alienta a que hable primero con su profesional médico sobre las preguntas relacionadas con el tratamiento o sobre cualquier pregunta que tenga respecto a la fenilcetonuria y su tratamiento.

**¿Puede comunicarse el paciente con la farmacia especializada después de recibir el envío inicial de KUVAN?**

Sí. Algunas razones para comunicarse con la farmacia especializada incluyen el cambio de domicilio en el que recibe los envíos de KUVAN, reportar daños o retrasos del envío durante el transporte o actualizar los arreglos del copago.

**¿Pueden comunicarse los profesionales médicos con la farmacia especializada después de que el paciente recibe el envío inicial de KUVAN?**

Sí. Algunas razones para comunicarse con la farmacia especializada incluyen un cambio en la dosis prescrita o instrucciones para el paciente.

**¿Qué debo hacer si no puedo estar presente para firmar la recepción del envío o si necesito un suministro de emergencia?**

Comuníquese con la farmacia especializada y explíqueles la situación, o comuníquese con el BPPS para solicitar ayuda.

**¿Quién presenta la solicitud de reembolso ante mi compañía de seguros?**

Una vez que la farmacia especializada comience a enviarle KUVAN, en la mayoría de los casos también se encargará de enviar a su compañía de seguros la solicitud de reembolso en su nombre.

**¿Se suspenderán los envíos de KUVAN si el paciente no responde al tratamiento?**

Los pacientes, bajo el consejo de sus médicos, toman la decisión de suspender el tratamiento. Los pacientes o los profesionales médicos pueden comunicarse con el BPPS para avisarles que el tratamiento se va a suspender. El BPPS comunicará estos cambios a la farmacia especializada para que interrumpa los envíos.

## **Preguntas más frecuentes acerca del KUVAN Patient Assistance Program (Programa de ayuda al paciente de KUVAN o K-PAP, por sus siglas en inglés)**

**¿Cuáles son los requisitos generales para ser elegible?**

**¿Cuáles son los diferentes elementos de la solicitud?**

**¿Hay una fecha límite para presentar la solicitud?**

**¿Cómo puede un paciente obtener ayuda para llenar la solicitud?**

**¿Cuál es el tiempo promedio de respuesta de la revisión de una solicitud y de la determinación de elegibilidad?**

**¿Cómo se le avisa al paciente que fue aceptado en el K-PAP?**

**¿Qué puede hacer el paciente si la solicitud es rechazada?**

**¿Paga el K-PAP otros gastos relacionados con el tratamiento de la fenilcetonuria?**

**¿Existen otros programas que ayudan a pagar los gastos del tratamiento de la fenilcetonuria?**

**¿Que sucederá si BioMarin retira su apoyo al K-PAP?**

**¿Cuáles son los requisitos generales para ser elegible?**

Los requisitos básicos para ser elegible para el K-PAP son los siguientes:

- Los pacientes deben completar el paquete de solicitud, según se explica en la siguiente pregunta y respuesta.
- Deben contar con una receta vigente de KUVAN.
- El programa está restringido a ciudadanos estadounidenses y residentes documentados de EE.UU. o sus territorios.
- Deben tener un diagnóstico confirmado de fenilcetonuria o hiperfenilalaninemia.
- En el proceso de solicitud se toman en cuenta los ingresos, los activos, los gastos familiares y otros gastos médicos.

- Deben presentar documentación que sirva como comprobante cuando se les solicite (declaración fiscal federal, estados de cuenta bancarios).
- Deben estar dispuestos a colaborar con el BPPS para identificar fuentes alternativas para la cobertura de medicamentos recetados.

### **¿Cuáles son los diferentes elementos de la solicitud?**

El paquete de solicitud debe incluir:

- Información postal del paciente (carta de presentación y lista de verificación)
- Sección financiera (1 página)
- Cláusula de renuncia y exención de obligaciones (1 página)
- Sobre de respuesta con domicilio impreso

### **¿Hay una fecha límite para presentar la solicitud?**

No, las solicitudes se aceptan de forma constante. Complete y devuelva la documentación lo más pronto posible para poder iniciar el proceso de revisión.

### **¿Cómo puede un paciente obtener ayuda para llenar la solicitud?**

Puede comunicarse con los administradores de casos del BPPS, quienes proporcionan asistencia a los pacientes sobre el K-PAP, de lunes a viernes, de 7 A.M. a 4 P.M. (hora del Pacífico) llamando al **1-877-MY-KUVAN (1-877-695-8826)**.

### **¿Cuál es el tiempo promedio de respuesta de la revisión de una solicitud y la determinación de elegibilidad?**

Se puede otorgar la aprobación para un suministro de KUVAN para 30 días a través del programa después de que el BPPS completa el proceso inicial de investigación de beneficios. Sin embargo, es importante tener en cuenta que el proceso no puede comenzar hasta que el K-PAP reciba una solicitud completa.

### **¿Cómo se le avisa al paciente después de haber sido aceptado en el K-PAP?**

El paciente, el profesional médico que lo refirió y el administrador de casos del BPPS son notificados mediante una carta en la que se explican los detalles de la ayuda.

### **¿Qué puede hacer el paciente si la solicitud es rechazada?**

Se alienta a los solicitantes a que apelen una solicitud rechazada volviendo a presentar su solicitud al K-PAP junto con información adicional que explique por qué debe reconsiderarse su caso.

### **¿Paga el K-PAP otros gastos relacionados con el tratamiento de la fenilcetonuria?**

No. El programa sólo proporciona KUVAN de forma gratuita a los pacientes que reúnen los requisitos. No proporciona ayuda para alimentos funcionales, pruebas de laboratorio u otros servicios médicos.

### **¿Existen otros programas que ayudan a pagar los gastos del tratamiento de la fenilcetonuria?**

Sí. El BPPS puede referir a los pacientes a la “*National Organization for Rare Disorders*” (Organización Nacional para Enfermedades Raras o NORD, por sus siglas en inglés), una organización que se especializa en este tipo de ayuda para pacientes con enfermedades raras. La NORD cuenta con un fondo que ofrece ayuda para la prima y el copago del seguro de los pacientes que están bajo tratamiento con medicamentos recetados para la fenilcetonuria, y asistencia para otros gastos directamente relacionados con el tratamiento de dicha enfermedad. Para obtener información general de la NORD, haga clic [aquí](#). Para ver otras Preguntas más frecuentes acerca de la NORD, haga clic [aquí](#).

### **¿Qué sucederá si se agotan los fondos de la NORD para este programa?**

Debido a que los donadores del fondo pueden cambiar o suspender sus contribuciones en cualquier momento, la NORD mantiene suficientes fondos para ayudar a los



pacientes con fenilcetonuria que están inscritos en el programa durante su periodo de elegibilidad de hasta 12 meses. La NORD no puede garantizar el apoyo por un tiempo mayor al del periodo de elegibilidad de cada paciente.

## **Preguntas más frecuentes acerca de la “*National Organization for Rare Disorders*” (Organización Nacional para Enfermedades Raras o NORD, por sus siglas en inglés)**

**¿Cuáles son los requisitos generales para ser elegible?**

**¿Cuáles son los diferentes elementos de la solicitud?**

**¿Hay una fecha límite para presentar la solicitud?**

**¿Puede un paciente obtener ayuda para llenar la solicitud?**

**¿Hay algún folleto que explique el programa?**

**¿Cómo se dividen los niveles de ingresos?**

**¿Puede un paciente solicitar ingresar al programa para obtener el reembolso de copagos que ya se hicieron?**

**¿Ayudará el programa de medicamentos recetados de la NORD a pagar pruebas de laboratorio y otros gastos necesarios para el tratamiento de la fenilcetonuria?**

**¿Puede la NORD ayudar a pagar los costos de los alimentos funcionales o las fórmulas que se usan para tratar la fenilcetonuria?**

**¿De qué manera la NORD define la “conformidad”?**

**¿De dónde provienen los fondos de la organización NORD?**

**¿Qué sucederá si se agotan los fondos de la NORD para este programa?**

**¿Cuáles son los requisitos generales para ser elegible?**

Los requisitos iniciales de la NORD son los siguientes:

- Los pacientes deben completar el paquete de solicitud, según se explica en la siguiente pregunta y respuesta.
- Debe estar bajo tratamiento con medicamentos recetados para la fenilcetonuria.
- Está restringido a ciudadanos estadounidenses y residentes documentados de EE.UU. o sus territorios.
- Debe tener un diagnóstico confirmado de fenilcetonuria o hiperfenilalaninemia.

- En el proceso de solicitud se toman en cuenta los ingresos, los activos, los gastos familiares y otros gastos médicos.
- Debe presentar documentación que sirva como comprobante cuando se le solicite (declaración fiscal federal y estados de cuenta bancarios).

### **¿Cuáles son los diferentes elementos de la solicitud?**

El paquete de solicitud de la NORD consiste de:

- Información postal del paciente (carta de presentación y lista de verificación)
- Sección financiera (1 página)
- Cláusula de renuncia y exención de obligaciones (1 página)
- Sobre de respuesta con domicilio impreso

### **¿Hay una fecha límite para presentar la solicitud?**

No, las solicitudes para la organización NORD se aceptan de forma constante.

Complete y devuelva la documentación lo más pronto posible para poder iniciar el proceso de revisión.

### **¿Puede un paciente obtener ayuda para llenar la solicitud?**

Sí. Los Representantes de servicio al paciente de la NORD están disponibles para ayudar a los pacientes de lunes a viernes, de 9 A.M. a 5 P.M. (hora del este); llame sin cargo al **1-800-999-6673 (opción 3)**.

### **¿Hay algún folleto que explique el programa?**

Sí, HAY un folleto informativo que puede descargar al hacer clic [aquí](#).

### **¿Cómo se dividen los niveles de ingresos?**

No existe un nivel preestablecido de ingresos para solicitar ayuda del programa. Sin embargo, la NORD analiza el ingreso familiar y los activos disponibles en comparación con los gastos familiares y médicos para determinar la elegibilidad de las personas.

**¿Puede un paciente solicitar ingresar al programa para obtener el reembolso de copagos que ya se hicieron?**

Sí. La NORD evaluará caso por caso la elegibilidad de los pacientes para recibir el reembolso de copagos anteriores. Los pacientes que califiquen para el programa, y siempre y cuando presenten el recibo correspondiente, recibirán directamente de la NORD el pago en efectivo de los copagos que hayan desembolsado.

**¿Ayudará el programa de medicamentos recetados de la NORD a pagar pruebas de laboratorio y otros gastos necesarios para el tratamiento de la fenilcetonuria?**

Sí. Son elegibles para cobertura otros costos relacionados con iniciar o continuar el tratamiento de un medicamento recetado para la fenilcetonuria. La NORD evaluará, caso por caso, la elegibilidad de los pacientes para recibir la cobertura de estos gastos adicionales.

**¿Puede la NORD ayudar a pagar los costos de los alimentos funcionales o las fórmulas que se usan para tratar la fenilcetonuria?**

Sí. La NORD ha establecido recientemente un programa separado para cubrir los gastos en alimentos funcionales y fórmulas de los pacientes que califiquen. Los Representantes de servicio al paciente de la NORD están disponibles para ayudar a los pacientes de lunes a viernes, de 9 A.M. a 5 P.M. (hora del este); llame sin cargo al **1-800-999-6673 (opción 3)**.

**¿De qué manera la NORD define la “conformidad”?**

La conformidad generalmente se define como que se está tomando  $\geq 90\%$  de los medicamentos recetados, según los registros de las farmacias especializadas. Todos los problemas relacionados con la conformidad serán evaluados caso por caso.

**¿De dónde provienen los fondos de la organización NORD?**

Los fondos de la NORD provienen de donaciones empresariales, subsidios de empresas interesadas como BioMarin Pharmaceutical Inc., subsidios de fundaciones, contribuciones públicas y cuotas de miembros.

**¿Qué sucederá si se agotan los fondos de la NORD para este programa?**

Debido a que los donadores del fondo pueden cambiar o suspender sus contribuciones en cualquier momento, la NORD mantiene suficientes fondos para ayudar a los pacientes con fenilcetonuria que están inscritos en el programa durante su periodo de elegibilidad de hasta 12 meses. La NORD no puede garantizar el apoyo por un tiempo mayor al del periodo de elegibilidad de cada paciente.