

令和3年3月21日

厚生労働大臣  
田村 憲久 殿

公益社団法人日本小児科学会  
会長 岡 明



### 要望書

「チオプロニン錠(販売名:チオラ錠 100)」の出荷調整による医療機関における欠品改善について

平素は保険医療行政に関し、一方ならぬご尽力及びご指導を賜り、誠にありがとうございます。このたびは、「チオプロニン錠(販売名:チオラ錠 100、製造販売元:マイラン製薬株式会社)」の出荷調整により医療機関に欠品が生じる可能性がある旨の情報提供をマイラン製薬株式会社より頂き、シスチン尿症診療に多大なる影響を与えることを懸念しております。

チオプロニン錠の効能・効果は「慢性肝疾患にける肝機能の改善(1970年承認)」、「初期老人性皮質白内障、水銀中毒時の水銀排泄増加(1979年効能追加)」および「シスチン尿症(2002年効能追加)」であり、このうち「シスチン尿症」については希少疾病用医薬品の指定を受けています(指定番号:(6薬A)第62号、指定年月日:1994年7月1日)。

シスチン尿症は腎尿細管と消化管上皮におけるシスチンおよび二塩基性アミノ酸(リシン、アルギニン、オルニチン)の再吸収障害に基づく遺伝性疾患です(常染色体劣性遺伝)。本症ではシスチンの再吸収障害により尿路内にシスチン結石が形成され、その結果、血尿、腹痛、腰背部痛、尿路感染症状を呈します。乳児期においては一般的に無症状であるものの、重症例ではシスチン結石を生じ、その場合、外科治療と併せてチオプロニン錠による薬物治療を行います。また、シスチン尿症における唯一の承認製剤であり、代替薬が存在しないことから、医療上、極めて重要な薬剤であると認識しております。最速7月に、本製剤が本格的に欠品となることにより薬物治療の手立てがなくなり、医療現場に混乱をきたすこととなります。

以上の事情をご賢察の上、医療現場においては代替薬への変更も検討し本当に必要な症例にのみ処方を検討いただき、また海外承認製品の緊急輸入や、代替メーカーからの原薬供給が可能になれば早急に製造再開が行われるように承認するなど、代替薬のないシスチン尿症の患者に安定供給できますようご配慮頂けましたら幸甚に存じます。