

Appendix1 Search Strategy

Database	Category	Term	#
PubMed	Patient	1 hemophilia	123 articles
	Economic	2 japan OR japanese	
		3 (costs) OR (cost)	
		4 direct cost	
		5 indirect cost	
	QOL/PRO	6 economic OR financial	
		7 quality of life	
		8 patient reported outcome	
		9 preference	
		10 satisfaction	
	General	11 burden	
	Period	12 ("1990/01/01"[Date - Publication] : "3000"[Date - Publication])	
	Total	13 1 AND 2 AND (3 OR 4 OR 5 OR 6 OR 7 OR 8 OR 9 OR 10 OR 11) AND 12	
Ichushi-Web	Patient	#1 (血友病/TH or 血友病/AL)	166 articles
	Economic	#2 (日本/TH or 日本/AL)	
		#3 (医療費/TH or 費用/AL)	
		#4 直接費/AL	
		#5 間接費/AL	
	QOL/PRO	#6 経済/AL	
		#7 (生活の質/TH or QOL/AL)	
		#8 (患者報告アウトカムの判定/TH or 患者報告アウトカム/AL)	
	General	#9 選好	
		#10 満足度	
		#11 疾病負荷/AL or 疾病負担/AL	
	Total	#12 #1 AND #2 AND (#3 OR #4 OR #5 OR #6 OR #7 OR #8 OR #9 OR #10 OR #11)	
CiNii	Patient	血友病 AND 日本	64 articles
	Economic	AND (費用 OR 直接費 OR 間接費 OR 経済	
	QOL/PRO	OR QOL OR 患者報告アウトカム OR 選好 OR 満足度	
	General	OR 疾病負荷 OR 疾病負担)	

Appendix2 Identified Articles

#	Author	Year	Title	Journal	Volume	No.	Page	Study Design	Publication Type
1	嶋 緑倫;澤本 好克;神末 政樹;他	1996	定期的第VIII因子注入により免疫寛容に導入され,quality of lifeに著明な改善が認められた重症血友病A inhibitor high-responder	臨床血液	37	11	1303-1308	Case report	Original research paper
2	本多 康次郎;長尾 大;神谷 忠;吉岡 章;宮崎 保;武田 武夫;森和夫;福武 勝幸;花房 秀次;滝正志;毛利 博;三間屋 純一;高松 純樹;木下 清二;白幡 聡	1998	血友病インヒター発生症例における止血療法およびQOLに関するプロスペクティブ研究	臨床血液	39	6	416-421	Case control study (Prospective)	Original research paper
3	竹谷 英之;河崎 則之;三上 貞昭;金 一	1998	血友病性関節症に対する人工関節置換術 QOL向上のために	臨床血液	39	10	999	Case series study	Conference abstract
4	竹谷 英之;三上 貞昭;阿部 純久;金 一;河崎 則之	2000	血友病性関節症に対する人工関節置換術	臨床血液	41	2	97-102	Case series study	Original research paper
5	佐々木 昭仁;新井 盛夫;周 明志;大瀧 学;内田 泰斗;福武 勝幸	2002	活性化プロトロンビン複合体製剤の予防的投与によりQOLが改善したインヒター保有血友病B症例	臨床血液	43	8	455	Case report	Conference abstract
6	田淵 健	2005	血友病の患者のQOLの追跡調査	こども医療センター医学誌 JZ0110B	34	3	163-164	Survey	Conference abstract
7	松尾 陽子;酒井 道生;佐藤 哲司;稲田 浩子;白幡 聡	2006	26HP20-5 小児期に定期補充療法を開始した患者の血友病性関節症とQOLの評価(ボスター 凝固1,第22回日本小児がん学会 第48回日本小児血液学会 第4回日本小児がん看護研究会 同時開催)	小児がん : 小児悪性腫瘍研究会記録	43	3	690	Survey	Conference abstract
8	矢崎 信;水谷 圭吾;伊藤 康彦	2006	定期補充療法による血友病の治療経験	日本小児血液学会雑誌	20	1	22-25	Case report	Original research paper
9	Ohga S.;Nomura A.;Takada H.;Suga N.;Hara T.	2007	Successful self-infusion of activated prothrombin complex concentrate for prophylaxis in a child with a factor VIII inhibitor	Am J Hematol	82	2	145-9	Case report	Original research paper
10	開田 美保;中舘 尚也;古川 真祐;石井 正浩;石井 匠子;大貫 恵子	2008	血友病患児における定期補充療法とスポーツへの積極的参加によるQOLの改善	臨床血液	49	9	1209	Case report	Conference abstract
11	岡 敏明	2008	第VIII因子フォン・ウィレブラント因子製剤による救済免疫寛容導入療法により部分的成功に達したインヒター陽性血友病Aの1例	日本小児血液学会雑誌	22	5-6	366-369	Case report	Original research paper
12	川原 英夫;佐藤 充彦;久保田 力;馬場 久敏	2009	血友病患者に対する両側同時TKAの検討	中部日本整形外科災害外科学会雑誌	52	4	847-848	Cohort study	Original research paper
13	梶原 真清恵	2009	中心静脈ポート留置によりQOLが向上した血友病Aインヒターの2例	日本小児科学会雑誌	113	2	307	Case report	Conference abstract
14	佐藤 篤;鈴木 資;早坂 広恵;名古屋 祐子;渡辺 裕美;岩崎 光子;小川 真紀;戸羽 香織;鈴木 信;南條 由佳;小沼 正栄;今泉 益栄	2022	血友病A患児・家族の生活の質に対するエミズマブの効果に関する検討	日本小児血液・がん学会雑誌	59	1	19-23	Case series study (Retrospective)	Original research paper
15	Tsukamoto S.;Tanaka Y.;Matsuda T.;Shinohara Y.;Taniguchi A.;Kumai T.;Tomiwa K.;Tanaka I.;Shima M.;Yoshioka A.	2011	Arthroscopic ankle arthrodesis for hemophilic arthropathy: two cases report	Foot (Edinb)	21	2	103-5	Case report	Original research paper
16	外間 明海;新城 宏隆	2012	血友病性関節症に対する人工関節全置換術後の理学療法	理学療法学Supplement	2011	0	Cb0712-Cb0712	Case report	Conference abstract
17	稲垣 有佐;田中 康仁;酒本 佳洋;上松 耕太;谷口 晃;熊井 司	2012	血友病患者に対する同時鏡視下肩関節・足関節滑膜切除術の医療経済効果	中部日本整形外科災害外科学会雑誌	55	秋季学会	153	Case report	Conference abstract
18	Shibata M.;Nakagawa T.;Akioka S.;Giddings J. C.;Kanehiro H.;Matsumoto T.;Ogiwara K.;Yada K.;Shima M.	2012	Hemostatic treatment using factor VIII concentrates for neutralizing high-responding inhibitors prior to CVAD insertion for immune-tolerance induction therapy	Clin Appl Thromb Hemost	18	1	66-71	Case report	Original research paper
19	Nakamura S.;Morimoto A.;Oh Y.;Hayase T.;Kashii Y.;Gunji Y.;Momoi M. Y.	2012	Cost effectiveness of prophylactic treatment with activated prothrombin complex concentrate in a patient with inhibitor-positive hemophilia A	Blood Coagul Fibrinolysis	23	3	235-7	Case report	Original research paper
20	稲垣 有佐;田中 康仁;村田 景一;酒本 佳洋;熊井 司;面川 庄平	2013	血友病患者に対するタンデム鏡視下滑膜切除術の医療経済効果	中部日本整形外科災害外科学会雑誌	56	5	1321-1322	Cohort study	Original research paper
21	後藤 美和;竹谷 英之;川間 健之介;新田 収	2014	血友病患者における健康関連QOL に影響を与える要因	日本血栓止血学会誌	25	3	388-395	Survey	Original research paper
22	Nagae Chiai;Yamashita Atsuki;Ashikaga Tomoko;Mori Mika;Akita Mieko;Kitsukawa Kaoru;Yamazaki Satoshi;Yoshikawa Kimie;Yamamoto Hitoshi;Taki Masashi	2016	A cohort study of the usefulness of primary prophylaxis in patients with severe haemophilia A	International Journal of Hematology	104	2	208-215	Cohort study*	Original research paper
23	牧野 健一郎;蜂須賀 明子;岡崎 哲也;佐伯 寛	2016	健康関連QOLからみる血友病包括診療の有用性	The Japanese Journal of Rehabilitation Medicine		JARM2016	I206	Survey	Conference abstract
24		2017	「血液凝固異常症のQOLに関する研究」平成29年度Research report					Survey	Research report
25	竹谷 英之;瀧 正志;伊賀 陽子;小島 賢一;後藤 美和;長江 千愛;野島 正寛;牧野 健一郎;松本 剛史;宮崎 菜穂子;森戸 克則;和田 育子;大平 勝美	2018	血液凝固異常症のQOLに関する研究 平成28年度調査報告	日本血栓止血学会誌	29	2	161	Survey	Research report

#	Author	Year	Title	Journal	Volume	No.	Page	Study Design	Publication Type
26	藤井 宝恵 1), 古賀 彩香 2), 藤井 輝久 3), 笹木 忍 3), 井上 雅美 3), 小林 正夫 4), 折山 早苗 4)	2018	血友病患者の治療の進歩は, 学校・社会生活の改善につながったか? – 定期補充療法を主とする若年者の母を対象とした質問紙調査 –	広島大学医学雑誌	66		1-8	Survey	Original research paper
27	西村志帆*, 溝口洋子, 下村麻衣子, 笹木 忍, 小林正夫	2018	IX 因子活性に基づいた半減期延長型第 IX 因子製剤 (エフトレノナコグアルファ) による定期補充療法の有用性	The Japanese Journal of Pediatric Hematology/Oncology	55	3	274–278	Case report	Original research paper
28	Karumori T1, Chhabra A2, Alvir J2, Fogarty PF3, Spurden D4, Tortella BJ3, Rubinstein E2, Pleil A5	2018	Factor Dispensation and Expenditures in Hemophilia B Patients Switching from Standard Half-Life to Extended Half-Life Recombinant Factor IX Replacement Products: Real-World Analysis in Japan	VALUE IN HEALTH 21			S1–S115	Cohort study	Conference abstract
29	Risa Matsumura, Keita Tomioka, MD, Shiho Nishimura, MD, Yoko Mizoguchi, MD PhD, Hiroshi Kawaguchi, MD PhD, Masao Kobayashi, MD PhD	2019	Pharmacokinetics of Extended Half-Life Factor VIII Products By myPKFiTR Is Useful for Personalized Treatment in Children with Severe Hemophilia a	Blood (2019) 134 (Supplement_1): 1127.				Case series study	Conference abstract
30	Midori Shima, Keiji Nogami, Sayaka Nagami, Seitaro Yoshida, Koichiro Yoneyama, Akira Ishiguro, Takashi Suzuki, Masashi Taki	2019	A multicentre, open-label study of emicizumab given every 2 or 4 weeks in children with severe haemophilia A without inhibitors	Haemophilia	25		979-987	Clinical trial (Open-label study*)	Original research paper
31	西村 志帆;溝口 洋子;富岡 啓太;小林 正夫	2020	血友病補充療法における半減期延長型製剤の有用性	日本小児血液・がん学会雑誌	57	3	215-219	Case series study	Original research paper
32	島田 恒幸;中村 裕一;山本 晃士	2020	埼玉医科大学グループでEmicizumab導入した血友病A5症例の経過と患者様満足度評価	日本血栓止血学会誌	31	2	217	Survey	Conference abstract
33	遠藤 幹也;林 祐子;朝倉 賀子;三浦 翔子;平井 大士;小山 耕太郎	2020	Emicizumabのは血友病患者、家族、介護者に出血予防以外の大きな利益がある	日本血栓止血学会誌	31	2	271	Survey (聞き取り調査)	Conference abstract
34	大橋 優子;植原 健二;平野 貴章;秋山 唯;仁木 久照;新井 猛;長江 千愛	2020	Inhibitorを有する血友病患者に対する関節鏡視下滑膜切除の経済的効果の検討	日本整形外科学会雑誌	94	8	S1729	Case report	Conference abstract
35	Sakamoto A.;Nakadate H.;Watanabe N.;Ishiguro A.	2020	[Successful treatment by switching from activated prothrombin complex concentrate to emicizumab therapy in a hemophilia A patient with inhibitors]	Rinsho Ketsueki	61	6	617-620	Case report	Original research paper
36	Furuichi Y.;Nogami K.;Yada K.;Nezu S.;Obayashi K.;Saeki K.;Kurumatani N.;Nakajima M.;Kinoshita S.;Shima M.	2020	Assessment of self-/parent-reported quality of life in Japanese children with haemophilia using the Japanese version of KIDSCREEN-52	Haemophilia	26	2	243-250	Survey	Original research paper
37	竹谷英之	2020	血友病患者のQOLに関する研究令和2年度Research report					Survey	Research report
38	Fuji T.;Kidoguchi Y.;Takahashi N.;Yu E.;Aniwaer D.;Byrne A.	2021	Budget impact analysis of Jivi (damoctocog alfa pegol, Bay 94-9027) in severe hemophilia A in Japan	J Med Econ	24	1	218-225	Budget impact analysis	Original research paper
39	Midori Shima, Azusa Nagao, Masashi Taki, Tadashi Matsushita, Koichi Oshida, Kagehiro Amano, Sayaka Nagami, Norihiro Okada, Shingo Maisawa, Keiji Nogami	2021	Long-term safety and efficacy of emicizumab for up to 5.8 years and patients' perceptions of symptoms and daily life: A phase 1/2 study in patients with severe haemophilia A	Haemophilia	27		81–89	Clinical trial	Original research paper
40	松本 剛史;Faller Mathilde;Toender Sidsel Marie;Porstmann Thomas	2022	長期のコンシズマブ定期投与後に改善された血友病患者のQoL 第II相臨床試験の結果	日本血栓止血学会誌	33	2	238	Clinical trial	Conference abstract