

DOI: <https://doi.org/10.59294/HIUIJS20250125>

**ĐÁNH GIÁ ĐIỀU TRỊ THẢI SẮT BẰNG DEFERIPRONE TRÊN BỆNH NHÂN
THALASSEMIA TẠI BỆNH VIỆN ĐA KHOA THỐNG NHẤT
TỈNH ĐỒNG NAI NĂM 2025**

Hồ Thị Phương Anh*, Bùi Văn Luân
Bệnh viện Đa khoa Thống Nhất tỉnh Đồng Nai

TÓM TẮT

Đặt vấn đề: Thalassemia là hội chứng bệnh hemoglobin di truyền, người bệnh thiếu máu mạn và cần truyền máu định kỳ để duy trì sự sống. Tuy nhiên, việc truyền máu lâu dài kèm theo hấp thu sắt từ đường tiêu hóa làm tăng nguy cơ quá tải sắt, dẫn đến các biến chứng nghiêm trọng. Deferiprone đóng vai trò quan trọng trong việc giảm thiểu các biến chứng liên quan đến quá tải sắt. Mục tiêu: Đánh giá điều trị thải sắt bằng Deferiprone trên bệnh nhân Thalassemia tại Bệnh viện Đa khoa Thống Nhất tỉnh Đồng Nai năm 2025. Phương pháp nghiên cứu: Nghiên cứu hồi cứu, tiến cứu, mô tả hàng loạt ca. Kết quả nghiên cứu: Bệnh nhân Beta Thalas và Beta Thalas/HbE có quá tải sắt nặng lần lượt là 34.8% và 26.7%, trong khi Alpha Thalas 7.7%. Sau 1 năm bệnh nhân điều trị thải sắt bằng Deferiprone, Ferritin giảm từ trung vị 1652.0 ng/mL đến trung vị 889.3 ng/mL. 74.5% bệnh nhân có đáp ứng với thuốc Deferiprone, trong khi 25.5% bệnh nhân không có đáp ứng với thuốc Deferiprone. Hb có mối tương quan nghịch và ALT có mối tương quan thuận với Ferritin huyết thanh. Kết luận: Sau 1 năm điều trị thải sắt bằng Deferiprone, Ferritin giảm từ trung vị 1.652.0 (986.3 - 2,759.0) ng/mL đến trung vị 889.3(678.0 - 1,884.0) ng/mL. 74.5% có đáp ứng với thuốc Deferiprone. Có mối tương quan giữa Hemoglobin, ALT với Ferritin huyết thanh.

Từ khóa: *quá tải sắt, thải sắt, Deferiprone, Thalassemia*

**EVALUATION OF IRON CHELATION THERAPY WITH DEFERIPRONE
IN THALASSEMIA PATIENTS AT THONG NHAT DONG NAI GENERAL
HOSPITAL IN 2025**

Ho Thi Phuong Anh, Bui Van Luan

ABSTRACT

Background: Thalassemia is an inherited hemoglobin syndrome, chronic anemia and requires regular blood transfusions to maintain life. However, long-term blood transfusions accompanied by iron absorption from the gastrointestinal tract increase the risk of iron overload, leading to serious complications. Deferiprone plays an important role in minimizing the complications associated with iron overload. Objective: Evaluation of iron chelation therapy with Deferiprone in Thalassemia patients at Thong Nhat Dong Nai General Hospital in 2025. Materials and methods: Retrospective research, progression, serial description of cases. Results: Patients with Beta Thalas and Beta Thalas/HbE had a higher rate of severe iron overload of 34.8% and 26.7%, respectively, than Alpha Thalas with severe iron overload of 7.7%. After 1 year of iron waste treatment with Deferiprone, Ferritin decreased from a median of 1652.0 (986.3 - 2759.0) ng/mL to a median of 889.3(678.0 - 1884.0) ng/mL. 74.5% responded to Deferiprone, 25.5% of patients did not respond to Deferiprone. There is a correlation between Hemoglobin, ALT and Serum Ferritin. Conclusion: After 1 year of treatment with Deferiprone, Ferritin decreased from 1652.0 (986.3 - 2759.0) ng/mL to 889.3(678.0 - 1884.0) ng/mL. 74.5% responded to Deferiprone. There is a correlation between Hemoglobin, ALT and Serum Ferritin.

Keywords: *iron overload, iron chelation therapy, Deferiprone, Thalassemia*

* Tác giả liên hệ: BSCKII Hồ Thị Phương Anh, Email: hophuonganh417@gmail.com
(Ngày nhận bài: 11/11/2025; Ngày nhận bản sửa: 24/11/2025; Ngày duyệt đăng: 26/11/2025)

1. ĐẶT VẤN ĐỀ

Thalassemia là một hội chứng bệnh hemoglobin di truyền liên quan tới các đột biến gen tổng hợp chuỗi globin nằm trên nhiễm sắc số 11 và 16, người bệnh thiếu máu mạn và cần truyền máu định kỳ để duy trì sự sống [1]. Quá tải sắt là một trong những yếu tố chính làm tăng tỉ lệ mắc bệnh và tử vong ở bệnh nhân bị bệnh Thalassemia. Deferiprone là thuốc thải sắt đường uống được sử dụng rộng rãi trong điều trị Thalassemia ở người lớn. Tác giả Binding A và cộng sự nghiên cứu điều trị thải sắt bằng Deferiprone bệnh nhân Thalassemia ở Canada ghi nhận giảm bạch cầu chiếm 3%, tăng men gan ALT gấp 5 lần giới hạn trên bình thường chiếm 9.1%, các tác dụng phụ về tiêu hoá chiếm 27% [2].

Tại Việt Nam, tác giả Bạch Quốc Khánh ghi nhận người dân Việt Nam có 13.8% là người mang gen Thalassemia. Người bị bệnh và mang gen bệnh có ở tất cả các tỉnh/thành phố, ở tất cả các dân tộc trên toàn quốc [3]. Theo Phạm Thị Thuận nghiên cứu tình trạng quá tải sắt và kết quả điều trị thải sắt của bệnh nhân Thalassemia ghi nhận có 97.2% bệnh nhân quá tải sắt dựa theo chỉ số Ferritin huyết thanh, trong đó chủ yếu là quá tải sắt mức độ trung bình đến nặng với các tỉ lệ tương ứng là 42.2% và 37.6%. Nồng độ Ferritin huyết thanh của bệnh nhân trong nghiên cứu cao, trung bình là 1954 ± 1221.7 ng/mL; 71% bệnh nhân có đáp ứng với điều trị thải sắt [4]. Lê Thùy Dung nghiên cứu bệnh nhân Thalassemia ghi nhận lâm sàng có gan to (74.4%), sạm da (58.5%); vàng da (86.8%). Bệnh nhân có tình trạng lách to và đã cắt lách chiếm tỉ lệ 83%. Nồng độ Hb lúc nhập viện trung bình là 6.59 ± 1.2 g/dL. 100% bệnh nhân có tình trạng quá tải sắt trong đó, quá tải sắt mức độ nặng chiếm 67.9% [5].

Bệnh viện Đa khoa Thống Nhất tỉnh Đồng Nai là một trong những cơ sở y tế tiếp nhận và điều trị bệnh nhân Thalassemia tại khu vực miền Nam. Việc đánh giá điều trị thải sắt bằng Deferiprone tại đây không chỉ giúp cải thiện chiến lược điều trị mà còn cung cấp thêm bằng chứng khoa học cho việc sử dụng thuốc thải sắt. Chúng tôi tiến hành thực hiện đề tài với mục tiêu đánh giá điều trị thải sắt bằng Deferiprone trên bệnh nhân Thalassemia tại Bệnh viện Đa khoa Thống Nhất tỉnh Đồng Nai năm 2025.

2. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP NGHIÊN CỨU

2.1. Đối tượng nghiên cứu

Bệnh nhân Thalassemia tại đơn vị Huyết học Lâm sàng khoa Nội Tổng hợp - Bệnh viện Đa khoa Thống Nhất tỉnh Đồng Nai từ tháng 06/2024 đến 08/2025, thỏa các tiêu chí chọn mẫu.

Tiêu chí chọn mẫu:

- Bệnh nhân được chẩn đoán xác định bị bệnh Thalassemia.
- Bệnh nhân có chỉ định điều trị thải sắt bằng Deferiprone và theo dõi trong thời gian 1 năm.
- Đồng ý tham gia nghiên cứu.

Tiêu chí loại:

- Bệnh nhân Thalassemia đang bị viêm gan, sốt, bị bệnh nhiễm trùng.
- Bệnh nhân có tình trạng bệnh lý ác tính, thiếu máu do các bệnh lý khác ngoài bệnh Thalassemia đã biết.
- Bệnh nhân có chống chỉ định điều trị thải sắt bằng Deferiprone.

2.2. Phương pháp nghiên cứu

Thiết kế nghiên cứu: Nghiên cứu hồi cứu, tiền cứu, mô tả loạt ca có phân tích.

- Thu thập dữ liệu hồ sơ bệnh án và xét nghiệm của bệnh nhân điều trị từ tháng 6/2024 đến tháng 8/2025; theo dõi Ferritin, Hb, men gan, tác dụng phụ tại các thời điểm 0; 3; 6; 9; 12 tháng sau khi dùng Deferiprone.
- Bệnh nhân uống thuốc thải sắt Deferiprone liều 75 mg/kg/ngày.
- Đánh giá đáp ứng dựa trên giảm $\geq 20\%$ Ferritin so với trước điều trị.

Các tiêu chuẩn sử dụng trong nghiên cứu

Kết quả điện di Hb theo từng thể bệnh Thalassemia [1]:

α - Thalassemia: Điện di có HbH; HbA giảm

β - Thalassemia: HbA giảm; HbF tăng

β - Thalassemia/HbE: β^0 Thalassemia/HbE: Không có HbA; chỉ có HbF và HbE; β^+ Thalassemia/HbE: HbF tăng; có HbE; HbA giảm

Bảng 1. Phân độ thiếu máu

Phân độ thiếu máu	Hemoglobin (g/dL)
Nhẹ	$9.0 \leq \text{Hemoglobin} < 12.0$
Trung bình	$6.0 \leq \text{Hemoglobin} < 9.0$
Nặng	$\text{Hemoglobin} < 6.0$

Truyền máu: khi Hb < 7g/dL hoặc Hb > 7g/dL - 9g/dL nhưng có các biến chứng như: Chậm phát triển, lách to nhiều, biến dạng xương [1].

Đánh giá tình trạng quá tải sắt dựa vào hướng dẫn Bộ Y tế [1]:

Bảng 2. Mức độ quá tải sắt

Mức độ quá tải sắt	Ferritin huyết thanh (ng/mL)
Bình thường	< 300
Nhẹ	300 - 1000
Trung bình	1001 - 2500
Nặng	> 2500

Bệnh nhân có chỉ định điều trị thải sắt khi có 1 trong 2 tiêu chuẩn sau [1]:

- Bệnh nhân đã được truyền ≥ 10 khối hồng cầu.
- Ferritin huyết thanh ≥ 800 ng/mL hoặc ≥ 500 ng/mL và bệnh nhân tiếp tục phải truyền máu định kỳ thường xuyên.
- Ngừng điều trị thải sắt khi Ferritin huyết thanh < 300 ng/mL.

Phân tích xử lý số liệu: Bằng phần mềm SPSS ver. 25.

Kiểm định thống kê có ý nghĩa ở mức $p < 0.05$.

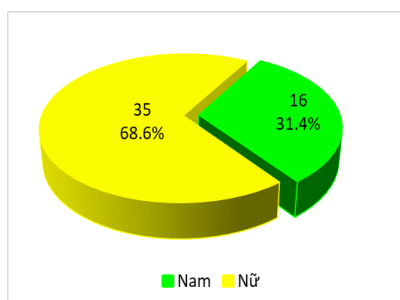
Kiểm soát sai số: Loại trừ bệnh nhân có viêm/nhiễm trùng tại thời điểm định lượng Ferritin để giảm nhiễu do tăng Ferritin phản ứng.

3. KẾT QUẢ NGHIÊN CỨU

Từ tháng 6/2024 đến tháng 8/2025, thông qua khảo sát trên 51 bệnh nhân Thalassemia thỏa tiêu chí chọn mẫu, chúng tôi ghi nhận các kết quả sau đây.

3.1. Đặc điểm lâm sàng và cận lâm sàng của đối tượng nghiên cứu

Tuổi trung bình là 36.3 ± 15.2 tuổi, nhỏ nhất là 17 tuổi, lớn nhất là 78 tuổi. Bệnh nhân 16 - 60 tuổi chiếm 92.2%.



Hình 1. Phân bố theo giới tính

Nhận xét: Nhóm nghiên cứu có bệnh nhân nữ chiếm tỉ lệ 68.6% cao hơn nam 31.4%.

Bảng 3. Phân loại thể bệnh Thalassemia

Phân loại thể bệnh Thalassemia	n	Tỉ lệ %
Alpha Thalassemia	13	25.5
Beta Thalassemia	23	45.1
Beta Thalassemia HbE	15	29.4
Tổng	51	100.0

Nhận xét: Thể bệnh Beta Thalassemia chiếm tỉ lệ cao nhất là 45.1%, kế đến là Beta Thalassemia HbE 29.4%, Alpha Thalassemia chiếm tỉ lệ thấp nhất là 25.5%.

Bảng 4. Phân độ thiếu máu

Phân độ thiếu máu	α - thal	β - thal	β - thal HbE	Chung	p
	n (Tỉ lệ %)	n (Tỉ lệ %)	n (Tỉ lệ %)	n (Tỉ lệ %)	
Nhẹ	0 (0.0)	3 (13.0)	1 (6.7)	4 (7.8)	0.15 ^(a)
Trung bình	13 (100.0)	15 (62.2)	13 (86.6)	41 (80.4)	
Nặng	0 (0.0)	5 (21.8)	1 (6.7)	6 (11.8)	
Tổng	13 (100.0)	23 (100.0)	15 (100.0)	51 (100.0)	

^(a): Kiểm định Fisher's Exact

Nhận xét: Đa số bệnh nhân có thiếu máu mức độ trung bình (80.4%), trong khi thiếu máu nặng chiếm 11.8%. bệnh nhân Beta Thalas và Beta Thalas/HbE có tỉ lệ thiếu máu nặng lần lượt là 21.8% và 6.7%, trong khi Alpha Thalas không có thiếu máu nặng. Sự khác biệt về phân độ thiếu máu theo thể bệnh không có ý nghĩa thống kê, $p > 0.05$.

Bảng 5. Mức độ quá tải sắt theo thể bệnh

Quá tải sắt	α - thal	β - thal	β - thal HbE	Chung	p
	n (Tỉ lệ %)	n (Tỉ lệ %)	n (Tỉ lệ %)	n (Tỉ lệ %)	
Nhẹ	6 (46.2)	8 (34.8)	6 (40.0)	20 (39.2)	0.52 ^(a)
Trung bình	6 (46.2)	7 (30.4)	5 (33.3)	18 (35.3)	
Nặng	1 (7.7)	8 (34.8)	4 (26.7)	13 (25.5)	
Tổng	13 (100.0)	23 (100.0)	15 (100.0)	51 (100.0)	

^(a): Kiểm định Fisher's Exact

Nhận xét: Bệnh nhân có tình trạng quá tải sắt nặng chiếm 25.5%. Đối với thể bệnh Beta Thalas và Beta Thalas/HbE có quá tải sắt nặng lần lượt là 34.8% và 26.7%, trong khi Alpha Thalas 7.7%. Sự khác biệt về mức độ quá tải sắt theo thể bệnh không có ý nghĩa thống kê, $p > 0.05$.

Bảng 6. Đặc điểm lâm sàng

Đặc điểm lâm sàng	Có		Không		Tổng
	n	Tỉ lệ %	n	Tỉ lệ %	n (Tỉ lệ %)
Da xanh niêm nhợt	49	96.1	2	3.9	51 (100.0)
Vàng da	38	74.5	13	25.5	51 (100.0)
Sạm da	39	76.5	12	23.5	51 (100.0)
Gan to	27	52.9	24	47.1	51 (100.0)
Lách to	41	80.4	10	19.6	51 (100.0)
Đã cắt lách	2	3.9	49	96.1	51 (100.0)
Có biến dạng sọ mặt	36	70.6	15	29.4	51 (100.0)

Nhận xét: Đa số bệnh nhân Thalassemia có tình trạng thiếu máu trên lâm sàng da xanh niêm nhợt chiếm 96.1%, vàng da chiếm 74.5%, sạm da chiếm 76.5%, gan to 52.9%, lách to 80.4%, đã cắt lách chiếm 3.9%, biến dạng xương sọ mặt 70.6%.

Bảng 7. Đặc điểm cận lâm sàng

Đặc điểm cận lâm sàng	Nam	Nữ	Tổng	p
	TV (TPV)	TV (TPV)	TV (TPV)	
Hb (g/dL)	6.6 (5.6 - 7.1)	6.8 (6.0 - 7.7)	6.7 (5.8 - 7.5)	0.35 ^(a)
Hb sau 1 năm	7.9 (6.5 - 9.0)	7.0 (5.8 - 7.9)	7.3 (6.5 - 8.2)	0.12 ^(a)
Bạch cầu đa nhân trung tính (%)	75.2 (64.4 - 83.3)	69.9 (63.4 - 77.6)	71.9 (64.2 - 78.5)	0.20 ^(a)
Ferritine (ng/mL)	1653.7 (1057.7 - 3566.5)	1652.0 (730.0 - 2759.0)	1652.0 (986.3 - 2759.0)	0.82 ^(a)
Ferritine (ng/mL) 3 tháng	1509.0 (929.2 - 2585.0)	1543.6 (708.9 - 2589.4)	1543.6 (881.5 - 2589.4)	0.78 ^(a)
Ferritine (ng/mL) 6 tháng	1253.3 (820.3 - 2224.6)	1423.0 (698.2 - 2134.0)	1256.3 (813.6 - 2134.0)	0.98 ^(a)
Ferritine (ng/mL) 9 tháng	1056.1 (763.1 - 2009.0)	1246.0 (589.3 - 1789.6)	1235.6 (620.3 - 1789.6)	0.98 ^(a)
Ferritine (ng/mL) sau 1 năm	855.2 (691.1 - 1906.4)	1032.5 (598.6 - 1729.5)	889.3 (678.0 - 1752.0)	0.97 ^(a)
Độ bão hoà Transferin (%)	90.4 (60.3 - 95.0)	80.5 (40.5 - 97.5)	85.2 (50.1 - 95.7)	0.52 ^(a)
ALT (UI/L)	37.1 (18.1 - 58.4)	36.2 (21.9 - 62.1)	36.2 (21.3 - 59.3)	0.69 ^(a)
AST (UI/L)	51.0 (35.4 - 74.8)	46.6 (32.6 - 69.9)	47.6 (33.8 - 69.9)	0.99 ^(a)

^(a) Kiểm định Mann Withney

Nhận xét: Bệnh nhân Thalassemia có tình trạng giảm Hemoglobin, Ferritin huyết thanh tăng, độ bão hoà Transferin tăng. Sự khác biệt về các đặc điểm cận lâm sàng giữa 2 giới không có ý nghĩa thống kê, $p > 0.05$.

3.2. Đặc điểm điều trị thải sắt bằng Deferiprone

Bảng 8. Thay đổi nồng độ Ferritin huyết thanh trước và sau điều trị thải sắt bằng Deferiprone

Chỉ số Ferritin huyết thanh	TV (TPV)	p
Ferritin trước (ng/mL)	1652.0 (986.3 - 2759.0)	<0.001 ^(a)
Ferritin sau 1 năm điều trị (ng/mL)	889.3 (678.0 - 1752.0)	
Chênh lệch Ferritin (ng/mL)	266.7 (-22.8 - 881.0)	

^(a) Kiểm định Wilcoxon

Nhận xét: Sau 1 năm bệnh nhân điều trị thải sắt bằng Deferiprone, 1652.0 (986.3 - 2759.0) ng/mL đến trung vị 889.3 (678.0 - 1884.0) có ý nghĩa thống kê, $p < 0.001$.

Bảng 9. Đáp ứng với thuốc Deferiprone

Đáp ứng với thuốc Deferiprone	n	Tỉ lệ %
Có	38	74.5
Không	13	25.5
Tổng	51	100.0

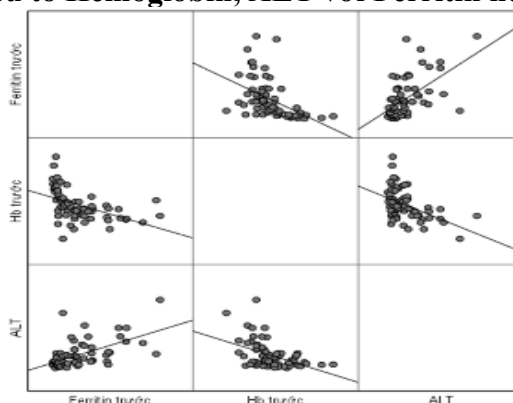
Nhận xét: Sau 1 năm điều trị, có 74.5% bệnh nhân có đáp ứng với thuốc Deferiprone, trong khi 25.5% bệnh nhân không có đáp ứng với thuốc Deferiprone với $Z = -4.45$, $p < 0.001$ (Kiểm định Wilcoxon).

Bảng 10. Các tác dụng phụ của Deferiprone

Các tác dụng phụ của Deferiprone	Có		Không		Tổng
	n	Tỉ lệ %	n	Tỉ lệ %	n (Tỉ lệ %)
Sưng đau khớp	6	11.8	45	88.2	51(100.0)
Triệu chứng tiêu hóa (buồn nôn, chán ăn, đầy bụng, tiêu chảy)	3	5.9	48	94.1	51(100.0)
Giảm bạch cầu đa nhân trung tính	2	3.9	49	96.1	51(100.0)
Tăng men gan	5	9.8	46	90.2	51(100.0)

Nhận xét: Bệnh nhân có các tác dụng phụ của Deferiprone: chiếm 11.8% trường hợp bị sưng đau khớp, 5.9% có các triệu chứng rối loạn tiêu hoá, 3.9% giảm bạch cầu đa nhân trung tính, 9.8% có tăng men gan.

3. Mối liên quan giữa các yếu tố Hemoglobin, ALT với Ferritin huyết thanh

**Hình 2.** Mối tương quan giữa Hemoglobin, ALT với Ferritin huyết thanh

Nhận xét: Hb có mối tương quan nghịch và ALT có mối tương quan thuận với Ferritin huyết thanh có ý nghĩa thống kê với $p < 0.05$.

4. BÀN LUẬN

Theo Bảng 3, chúng tôi ghi nhận có thể bệnh Beta Thalas chiếm tỉ lệ cao nhất là 45.1%, kế đến là Beta Thalas/HbE 29.4%, Alpha Thalas chiếm tỉ lệ thấp nhất là 25.5%. Kết quả của chúng tôi khá tương đồng với Lê Quốc Trung ghi nhận thể bệnh Alpha Thalas chiếm 17.2%; Beta Thalas chiếm 41.4%, tuy nhiên, thể bệnh Beta Thalas/HbE chiếm 41.4% cao hơn so với kết quả của chúng tôi [6]. Sự khác biệt nhỏ giữa các nghiên cứu có thể do yếu tố địa lý và đặc điểm dân số khu vực.

Trong Bảng 4 về phân độ thiếu máu, phần lớn bệnh nhân có thiếu máu mức độ trung bình (80.4%), trong khi thiếu máu nặng chiếm 11.8%. Kết quả này tương đồng với kết quả của Lê Thùy Dung ghi nhận bệnh nhân Thalassemia có 28.3% thiếu máu nặng, 71.7% bệnh nhân thiếu máu trung bình và nhẹ [5]. Theo Bảng 7, nồng độ Hb trung vị là $6.7(5.8 - 7.5)$ g/dL, phản ánh tình trạng thiếu máu mạn tính phổ biến ở bệnh nhân Thalassemia. Kết quả này tương đồng với các nghiên cứu của Phạm Thị Thuận ghi nhận Hb trung bình 6.6 ± 8.2 g/dL [4] và Lê Thùy Dung ghi nhận bệnh nhân Thalassemia có Hb trung bình là 6.6 ± 1.2 g/dL [5]. Kết quả cũng tương đồng với kết quả của Chuncharunee S. và cộng sự nghiên cứu trên bệnh nhân Thalassemia tại Thái Lan có Hb trung bình 7.1 ± 1.3 g/dL [7].

Theo Bảng 5, chúng tôi ghi nhận bệnh nhân có tình trạng quá tải sắt nặng (Ferritin $> 2,500$ ng/mL) chiếm 25.5%. Đối với thể bệnh Beta Thalas và Beta Thalas/HbE có quá tải sắt nặng lần lượt là 34.8% và 26.7%, trong khi Alpha Thalas 7.7%. Đây là một tỉ lệ đáng quan tâm vì quá tải sắt là yếu tố nguy cơ hàng đầu gây biến chứng lâu dài trên gan, tim và hệ nội tiết ở bệnh nhân Thalassemia. So sánh với các nghiên cứu trong nước, Phạm Thị Thuận báo cáo có 97.2% bệnh nhân Thalassemia có quá tải sắt dựa vào Ferritin huyết thanh, trong đó mức độ trung bình và nặng chiếm đa số (42.2% và 37.6%) [4].

Lê Thùy Dung tại Bệnh viện Trung ương Thái Nguyên cũng ghi nhận tỉ lệ quá tải sắt nặng lên tới 67.9% [5]. Điều này cho thấy tỉ lệ quá tải sắt trong nghiên cứu của chúng tôi thấp hơn so với một số nghiên cứu khác trong nước, có thể do đặc điểm dân số bệnh nhân được quản lý khác nhau. Ngoài ra, kết quả của chúng tôi cũng tương tự với kết quả của Huang Y, và cộng sự ghi nhận nồng độ có tình trạng quá tải sắt chiếm 86.9% [8].

Về đặc điểm lâm sàng ở Bảng 6, kết quả tương đồng với nghiên cứu của Lê Thùy Dung ghi nhận 100% có biểu hiện thiếu máu trên lâm sàng, lách to độ 1 - 2 chiếm 50.9%, lách to độ 3 - 4 chiếm 9.4% nhưng tỉ lệ cắt lách chiếm 22.6% cao hơn kết quả của chúng tôi [5]. Ở bệnh nhân Thalassemia luôn có tình trạng quá tải sắt do tan máu, truyền máu và tình trạng tăng hấp thu sắt. Ngoài ra tình trạng tăng tạo máu ngoài tủy của các bệnh nhân Thalassemia dẫn đến có biểu hiện gan to, lách to. Khác biệt này có thể do mức độ phụ thuộc truyền máu và quá tải sắt của bệnh nhân trong quần thể khác nhau. Kết quả của chúng tôi ghi nhận bệnh nhân Thalassemia có 52.9% gan to tương đồng với kết quả của Lê Quốc Trung ghi nhận 50% bệnh nhân có tình trạng gan to [6].

Theo bảng 8, sau 1 năm bệnh nhân điều trị thải sắt bằng Deferiprone, chúng tôi ghi nhận nhóm nghiên cứu có nồng độ Ferritin huyết thanh trung vị giảm từ 1652.0 (986.3 - 2,759.0) ng/mL đến trung vị 889.3 (678.0 - 1,752.0) ng/mL. Kết quả này cho thấy Deferiprone có hiệu quả trong việc giảm quá tải sắt ở bệnh nhân Thalassemia trong điều kiện thực hành lâm sàng. Theo bảng 9, chúng tôi ghi nhận có 74.5% có đáp ứng với thuốc Deferiprone, kết quả cũng tương đồng với các nghiên cứu trong nước. Phạm Thị Thuận cũng ghi nhận 71% bệnh nhân có đáp ứng điều trị thải sắt, cho thấy mức độ cải thiện rõ rệt sau khi dùng Deferiprone [4]. Điều này chứng tỏ hiệu quả của Deferiprone tại các cơ sở y tế tuyến tỉnh, không chỉ tại các trung tâm huyết học lớn. Đối với nhóm 25.5% bệnh nhân không đáp ứng, chúng tôi ghi nhận và báo cáo kết quả nhưng chưa can thiệp thay đổi phác đồ, vì việc tăng liều hoặc chuyển sang thuốc khác (Deferasirox hoặc Desferrioxamine) nằm ngoài phạm vi thiết kế nghiên cứu hiện tại.

Các tác dụng phụ ghi nhận thường gặp nhất là đau khớp (11.8%), tăng men gan (9.8%), rối loạn tiêu hóa (5.9%) và giảm bạch cầu trung tính (3.9%) theo bảng 10. Không có trường hợp nào gặp biến chứng giảm bạch cầu hạt nặng buộc phải ngừng thuốc và đa số các tác dụng phụ đều ở mức nhẹ đến trung bình, có thể hồi phục sau khi điều chỉnh liều hoặc điều trị hỗ trợ. Kết quả của chúng tôi khá tương đồng với các tác giả Phạm Thị Thuận ghi nhận tỉ lệ tác dụng phụ gần 20%, chủ yếu là tăng men gan 12.3% và đau khớp 10.8% [4]. Binding và cộng sự tại Canada ghi nhận rối loạn tiêu hóa ở 27% bệnh nhân và tăng men gan ở 9.1% [2]. Calvaruso tại Ý cũng cho thấy khoảng 10 - 15% bệnh nhân gặp đau khớp và rối loạn tiêu hóa [9]. So với những số liệu này, tỉ lệ tác dụng phụ trong nghiên cứu của chúng tôi thấp hơn, có thể do sự khác biệt về đặc điểm quần thể bệnh nhân khác nhau.

Thalassemia là bệnh di truyền do rối loạn tổng hợp chuỗi globin dẫn đến thiếu máu trầm trọng cần phải truyền máu thường xuyên. Tuy nhiên, những hậu quả liên quan đến truyền máu gây ra tình trạng quá tải sắt và tổn thương đa cơ quan. Theo Hình 2, chúng tôi ghi nhận Hemoglobin có mối tương quan nghịch đối với Ferritin huyết thanh và ALT có mối tương quan thuận đối với Ferritin huyết thanh. Nghĩa là nồng độ Hb càng giảm khi Ferritin huyết thanh càng tăng, ALT tăng khi Ferritin huyết thanh tăng. Tình trạng thiếu máu càng tăng thì có quá tải sắt càng nhiều. Ferritin huyết thanh có thể cao trong bệnh Thalassemia, nguyên nhân chính là do các bệnh nhân Thalassemia thường xuyên phải truyền máu để điều trị tình trạng thiếu máu.

Hạn chế: Cỡ mẫu nhỏ ($n = 51$), hạn chế sức mạnh thống kê. Ferritin dễ bị ảnh hưởng bởi viêm/nhiễm trùng. Chưa đánh giá mức độ tuân thủ thuốc của bệnh nhân. Chưa đánh giá đáp ứng theo từng mức độ quá tải sắt.

5. KẾT LUẬN

Thể bệnh Beta Thalassemia chiếm tỉ lệ cao nhất là 45.1%, kế đến là Beta Thalassemia HbE 29.4%, Alpha Thalassemia chiếm tỉ lệ thấp nhất là 25.5%. Bệnh nhân Beta Thalas và Beta Thalas/HbE có

quá tải sắt nặng lần lượt là 34.8% và 26.7%, trong khi Alpha Thalas 7.7%. Tình trạng da xanh niêm nhợt chiếm 96.1%, vàng da 74.5%, sạm da 76.5%, gan to 52.9%, lách to 80.4%, đã cắt lách 3.9%, biến dạng xương sọ 70.6%. Sau 1 năm bệnh nhân điều trị thải sắt bằng Deferiprone, Ferritin giảm từ trung vị 1652.0(986.3 - 2,759.0)ng/mL đến trung vị 889.3 (678.0 - 1,752.0)ng/mL. 74.5% bệnh nhân có đáp ứng với thuốc Deferiprone, trong khi 25.5% bệnh nhân không có đáp ứng với thuốc Deferiprone. Tác dụng phụ của thuốc Deferiprone chiếm 11.8% bị sưng đau khớp, 5.9% có rối loạn tiêu hoá, 3.9% giảm bạch cầu đa nhân trung tính và 9.8% có tăng men gan. Hb có mối tương quan nghịch và ALT có mối tương quan thuận với Ferritin huyết thanh.

Kiến nghị: Deferiprone là lựa chọn hiệu quả và thuận tiện trong điều trị thải sắt, tuy nhiên cần cá thể hóa liều lượng, theo dõi sát đáp ứng và tác dụng phụ. Với bệnh nhân quá tải sắt nặng hoặc đáp ứng kém, nên xem xét phối hợp các thuốc thải sắt khác (Deferasirox, Deferoxamine). Nên định kỳ kiểm tra Ferritin huyết thanh, men gan, công thức máu để phát hiện sớm biến chứng của thuốc.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

- [1] Bộ Y tế, "Bệnh huyết sắc tố (Thalassemia và huyết sắc tố bất thường)," *Hướng dẫn chẩn đoán và điều trị một số bệnh lý huyết học*, 2022, pp. 20-31.
- [2] A. Binding, R. Ward, G. Tomlinson, and K. H. M. Kuo, "Deferiprone exerts a dose-dependent reduction of liver iron in adults with iron overload," *Eur J Haematol*, vol. 103, no. 2, pp. 80-87, Aug 2019.
- [3] K. Q. Bach, H. T. T. Nguyen, T. H. Nguyen, M. B. Nguyen, and T. A. Nguyen, "Thalassemia in Viet Nam," *Hemoglobin*, vol. 46, no. 1, pp. 62-65, Jan 2022.
- [4] P. T. Thuận, "*Nghiên cứu tình trạng nhiễm sắt và kết quả điều trị thải sắt của bệnh nhân Thalassemia*," Luận án tiến sĩ y học, Đại học Y Hà Nội, 2022.
- [5] L. T. Dung, "Đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng và kết quả điều trị truyền máu trên bệnh nhân Thalassemia tại bệnh viện Trung ương Thái Nguyên," *Tạp chí Y học Việt Nam*, tập 510, trang 12-16, 2022.
- [6] L. Q. Trung, N. M. Phuong, và N. T. Hải, "Đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng, kháng thể kháng hồng cầu và đánh giá kết quả điều trị trẻ bị Thalassemia tại Bệnh viện Nhi đồng Cần Thơ từ 9/2018 -7/2019 " *Tạp chí Y tế Công cộng*, số 22-25, trang 1-9, 2019.
- [7] S. Chuncharunee, N. Teawtrakul, N. Siritanaratkul, and N. Chueamuangphan, "Review of disease-related complications and management in adult patients with thalassemia: A multi-center study in Thailand," *PLOS ONE*, vol. 14, no. 3, p. e0214148, 2019.
- [8] Y. Huang *et al.*, "Iron overload status in patients with non-transfusion-dependent thalassemia in China," *Ther Adv Hematol*, vol. 13, 2022.
- [9] G. Calvaruso *et al.*, "Deferiprone versus deferoxamine in thalassemia intermedia: Results from a 5-year long-term Italian multicenter randomized clinical trial," (in eng), *Am J Hematol*, vol. 90, no. 7, pp. 634-8, Jul 2015.