VAI TRÒ CỦA GHÉP TẾ BÀO GỐC TẠO MÁU TỪ MÁU DÂY RỐN TRONG KỶ NGUYÊN GHÉP NỬA HÒA HỢP HLA

Trần Ngọc Quế[1,2]
Nguyễn Bá Khanh[1,3]

[1] *Viện Huyết học – Truyền máu Trung ương*
[2] *Trường Đại học Y tế Công cộng*
[3] *Trường Đại học Y Hà Nội*

Tác giả chịu trách nhiệm
Nguyễn Bá Khanh
Viện Huyết học – Truyền máu Trung ương
Trường Đại học Y Hà Nội
Email: Khanhhhtm@gmail.com

Ngày nhận bài: 05/08/2026
Ngày phản biện: 13/09/2026
Ngày đồng ý đăng: 28/10/2026

DOI: 10.52322/jocmbmh.155.0302

TÓM TẮT

Mục tiêu: Phân tích đặc điểm và hiệu quả ứng dụng của nguồn tế bào gốc tạo máu từ máu dây rốn và người hiến nửa hòa hợp trong ghép tế bào gốc tạo máu đồng loài.

Kết quả: Mỗi nguồn tế bào gốc đều có những ưu điểm và nhược điểm riêng. Trong ứng dụng lâm sàng, hai nguồn này tương đương về tỷ lệ sống sau ghép trong nhiều báo cáo. Nguồn tế bào gốc từ người hiến nửa hòa hợp có ưu điểm về mọc ghép và chi phí. Máu dây rốn có hiệu ứng chống tế bào ác tính mạnh ở nhóm bệnh nhân nguy cơ cao, cải thiện chất lượng cuộc sống về lâu dài và phù hợp hơn trong một số bệnh lý bẩm sinh.

Kết luận: Việc phân tích đầy đủ và khách quan những đặc điểm của máu dây rốn trong thời kỳ bùng nổ của ghép nửa hòa hợp giúp xác định đúng vai trò của từng nguồn cũng như lựa chọn chính xác, cá thể hóa cho từng đối tượng bệnh nhân cần ứng dụng. Ghép kết hợp máu dây rốn và nửa hòa hợp đang là xu thế hiệu quả để kết hợp ưu điểm và khắc phục nhược điểm của cả hai nguồn.

Từ khóa: *ghép tế bào gốc, máu dây rốn, nửa hòa hợp.*

1. ĐẶT VẤN ĐỀ

Trong những năm qua, ghép tế bào gốc tạo máu đồng loài đã trở thành một trong những kỹ thuật điều trị hiệu quả đối với nhiều bệnh lý cơ quan tạo máu tại Việt Nam. Với mỗi ca ghép, việc tìm kiếm người hiến phù hợp kháng nguyên bạch cầu người (HLA) luôn là yếu tố then chốt quyết định thành công của điều trị [1,2]. Người hiến là anh chị em ruột phù hợp hoàn toàn HLA luôn là nguồn tế bào gốc tối ưu nhưng chỉ đáp ứng được nhu cầu của khoảng 30% số bệnh nhân [1,3]. Đối với 70% bệnh nhân còn lại, nhiều quốc gia đã lựa chọn các giải pháp thay thế như xây dựng hệ thống người hiến không cùng huyết thống, ngân hàng máu dây rốn cộng đồng, người hiến nửa hòa hợp để giải quyết. Tại nhiều quốc gia, việc xây dựng hệ thống đăng ký người hiến không cùng huyết thống phù hợp còn gặp khó khăn như đòi hỏi lượng người đăng ký rất lớn và thách thức gặp ở các nhóm dân tộc thiểu số hoặc người có kiểu gen HLA hiếm [2,4-6]. Tại Việt Nam, để giải quyết vấn đề thiếu hụt nguồn người hiến, hai nguồn tế bào gốc thay thế quan trọng đã ra đời và phát triển mạnh mẽ trong hơn một thập kỷ qua bao gồm tế bào gốc từ máu dây rốn (MDR) và người hiến nửa hòa hợp (NHH) [7,8].

Kể từ ca ghép MDR đầu tiên thành công

vào năm 1988 cho một bệnh nhân thiếu máu Fanconi, nguồn tế bào này đã mở ra cơ hội điều trị và sống thêm cho hàng chục ngàn bệnh nhân [6,9,10]. Đến năm 2013, số lượng các ngân hàng MDR và các ca ghép đã tăng trưởng theo cấp số nhân trên toàn cầu [10]. Tuy nhiên, song song với sự phát triển của MDR, kỹ thuật ghép NHH cũng có những bước tiến vượt bậc. Đặc biệt, việc áp dụng phác đồ cyclophosphamide sau ghép (PTCy) đã giúp kiểm soát hiệu quả biến chứng bệnh ghép chống chủ (GvHD) và thất bại mọc mảnh ghép, vốn là những rào cản lớn nhất của ghép NHH trước đây [2,3,9]. Sự phát triển của ghép NHH đã dẫn đến một sự thay đổi rõ rệt trong thực hành lâm sàng toàn cầu. Tại châu Âu, số ca ghép NHH tăng vọt gấp 4 lần trong giai đoạn 2005–2015, trong khi số ca ghép MDR đã giảm đi một nửa kể từ năm 2011 [9]. Tại Hoa Kỳ, dữ liệu từ hệ thống đăng ký ghép tế bào gốc tạo máu CIBMTR (Center for International Blood and Marrow Transplant Research) cho thấy kể từ năm 2014, số ca ghép NHH đã chính thức vượt qua MDR và trở thành nguồn tế bào thay thế phổ biến nhất [5,9,10]. Tại một số nước châu Á như Trung Quốc, ghép NHH hiện chiếm tỷ lệ vượt trội, khoảng 63% tổng số ca ghép đồng loài vào năm 2021, trong khi MDR chỉ chiếm khoảng 3-5% [11]. Nhật Bản là một trong số ít quốc gia mà MDR vẫn duy trì được vị thế với hơn 1.000 ca mỗi năm, do đặc thù về nhân chủng học và sự phát triển mạnh mẽ của các ngân hàng MDR tại đây [12,13].

Sự chiếm ưu thế của ghép NHH với những đặc điểm như mọc mảnh ghép nhanh, phục hồi miễn dịch sớm và chi phí thấp đã khiến nhiều trung tâm ghép ngày càng ít lựa chọn MDR [3,9,14,15]. Điều này đặt ra một vấn đề cấp thiết rằng liệu MDR có thực sự bị thay thế hoàn toàn bởi nguồn người hiến NHH hay không? Báo cáo này nhằm mục tiêu "*Phân tích đặc điểm và hiệu quả ứng dụng của nguồn tế bào gốc từ máu dây rốn và người hiến nửa hòa hợp trong ghép tế bào gốc tạo máu đồng loài*", qua đó giúp người đọc có thông tin đầy đủ hơn về vai trò của MDR trong kỷ nguyên bùng nổ của ghép NHH.

2. SO SÁNH ĐẶC ĐIỂM GIỮA GHÉP TẾ BÀO GỐC TỪ MÁU DÂY RỐN VÀ GHÉP NỬA HÒA HỢP

Tế bào gốc từ MDR và người hiến NHH mang các đặc tính sinh học và động học lâm sàng đặc thù. Mỗi nguồn đều có những ưu điểm và hạn chế riêng biệt, tác động trực tiếp đến quá trình mọc mảnh ghép, biến chứng và khả năng phục hồi của bệnh nhân.

MDR có ưu điểm về tính sẵn có do các mẫu tế bào gốc đã được xét nghiệm HLA và lưu trữ đông lạnh ngay sau thu thập. Thời gian từ khi tìm kiếm đơn vị hòa hợp đến khi vận chuyển về cơ sở ghép lâm sàng thường ngắn [12]. Điều này cực kỳ quan trọng đối với các bệnh ác tính tiến triển nhanh cần ghép khẩn cấp [12]. Trong khi đó với các trường hợp ghép NHH, mặc dù hầu như bệnh nhân nào cũng có ít nhất một người thân NHH nhưng việc chuẩn bị vẫn phụ thuộc vào tình trạng sức khỏe, tâm lý và sự sẵn sàng của người hiến [12]. Dù vậy, người hiến NHH vẫn được coi là nguồn tế bào dự phòng nhanh tiếp cận hơn so với việc tìm người hiến không huyết thống [12].

Xét về tiêu chuẩn hòa hợp HLA, cả hai nguồn đều cho phép dung nạp với mức độ hòa hợp thấp hơn các nguồn khác. MDR cho phép dung nạp với mức độ hòa hợp HLA tối thiểu 4/6 locus (HLA-A, B, DRB1) [12]. Ghép NHH chỉ yêu cầu hòa hợp 5/10 locus (HLA-A, B, C, DRB1, DQB1), nhưng đòi hỏi các biện pháp can thiệp miễn dịch mạnh như sử dụng PTCy để tránh đào thải và GvHD mức độ nặng [12].

Liều lượng tế bào là hạn chế lớn nhất của MDR [12]. Một đơn vị MDR có số lượng tế bào

có nhân và tế bào gốc CD34+ thấp hơn nhiều (thường ít hơn 1-2 log) so với tủy xương hoặc máu ngoại vi của người hiến trưởng thành [12]. Để khắc phục, chiến lược ghép hai đơn vị MDR đã được áp dụng cho người lớn để đạt liều tế bào tối thiểu cần thiết [12]. Do liều tế bào thấp, MDR có thời gian mọc mảnh ghép chậm hơn hẳn so với các nguồn tế bào gốc khác [12]. Thời gian trung bình để mọc mảnh ghép bạch cầu trung tính ở MDR thường là 20-25 ngày, so với 15-18 ngày ở ghép NHH. Sự chậm trễ này làm kéo dài giai đoạn suy tủy, dẫn đến tăng nguy cơ nhiễm trùng và tử vong không do tái phát (NRM) [12]. Bên cạnh đó, MDR cũng có sự phục hồi miễn dịch chậm hơn, đặc biệt là các tế bào T nhớ, do các tế bào T trong MDR còn khá nguyên sơ. Điều này dẫn đến tỷ lệ nhiễm virus (CMV, EBV, Adenovirus) và nhiễm nấm trong 100 ngày đầu sau ghép cao hơn so với ghép NHH [12].

Một trong những ưu điểm lớn nhất của MDR là nguy cơ GvHD mạn tính thấp [12]. Điều này được giải thích do các tế bào T trong MDR ít có khả năng tấn công tế bào cơ thể chủ hơn, giúp giảm thiểu các biến chứng miễn dịch kéo dài và cải thiện đáng kể chất lượng cuộc sống lâu dài cho bệnh nhân sau ghép [12]. Ngược lại, trong ghép NHH, mặc dù phác đồ PTCy đã giúp giảm đáng kể GvHD, nhưng nguy cơ GvHD, đặc biệt GvHD mạn tính, vẫn có thể cao hơn so với MDR trong một số báo cáo so sánh trực tiếp [12].

Một ưu điểm của các nguồn người hiến trưởng thành nói chung, trong đó có người hiến NHH là có thể lấy thêm tế bào từ người hiến cũ khi cần truyền bổ sung, truyền lympho người hiến để điều trị tái phát hoặc ghép lại khi thất bại mọc mảnh ghép. Với MDR, đây là điều không thể thực hiện được [12]. Ngoài ra, ghép MDR thường có chi phí ban đầu cao do phí thu mua và xử lý đơn vị máu từ các ngân hàng cộng đồng tại chỗ hoặc quốc tế (có thể lên tới 40.000-50.000 USD/ đơn vị). Ghép NHH sử dụng người thân nên chi phí lấy tế bào thấp hơn, dễ tiếp cận hơn ở các khu vực có nguồn lực hạn chế [12]. Tuy nhiên, theo báo cáo của Nagler (2022), gánh nặng kinh tế 5 năm của bệnh nhân ghép từ MDR thấp hơn so với các nguồn từ người hiến trưởng thành do giảm bớt các chi phí cho điều trị biến chứng [11].

3. HIỆU QUẢ ỨNG DỤNG

Để đánh giá chính xác hiệu quả của ghép MDR so với ghép NHH, nhiều nghiên cứu so sánh đã được thực hiện, tập trung vào các tỷ lệ sống thêm toàn bộ (OS), sống thêm không tiến triển (PFS), tử vong không do tái phát và tỷ lệ GvHD. Thử nghiệm ngẫu nhiên có đối chứng CTN1101 so sánh trực tiếp giữa ghép 2 đơn vị MDR và ghép tủy xương NHH sử dụng PTCy ở người lớn mắc bệnh máu ác tính cho thấy không có sự khác biệt có ý nghĩa thống kê về PFS sau 2 năm giữa hai nhóm [2]. Nhóm ghép người hiến NHH cho tỷ lệ OS 2 năm cao hơn (57% so với 46% ở nhóm MDR) [2]. Một báo cáo của Brunstein và cộng sự (2011) ghi nhận tỷ lệ OS 1 năm 62% ở nhóm người hiến NHH so với 54% ở nhóm MDR [16]. Tỷ lệ tử vong không do tái phát ở nhóm ghép MDR cao hơn đáng kể so với nhóm NHH (24% so với 7% sau 1 năm) [16]. Nguyên nhân chủ yếu do chậm mọc mảnh ghép và biến chứng nhiễm trùng ở nhóm MDR [11]. Không có sự khác biệt về tỷ lệ tái phát giữa hai phương pháp sau 2 năm, gợi ý hiệu ứng mảnh ghép chống tế bào ác tính của cả hai nguồn tế bào có thể tương đương [11].

Các phân tích gộp trên quy mô lớn cung cấp cái nhìn tổng quan về xu hướng điều trị toàn cầu của 2 nhóm. Một phân tích gộp năm 2020 trên 12 nghiên cứu cho thấy ghép từ người hiến NHH mang lại kết quả lâm sàng tốt hơn MDR về các chỉ số OS, PFS và NRM [3]. Điều này thường liên quan đến tốc độ hồi phục huyết học nhanh hơn và ít biến chứng nhiễm trùng sớm

hơn. Ngược lại, ghép từ MDR lại vượt trội trong việc giảm nguy cơ GvHD mạn tính [3]. Đây là yếu tố giúp bệnh nhân có chất lượng cuộc sống sau ghép tốt hơn về dài hạn [10,17].

Tại quốc gia có kinh nghiệm ghép MDR hàng đầu thế giới như Nhật Bản, các báo cáo tại đây thường cho kết quả khả quan hơn so với các khu vực khác. Một nghiên cứu hồi cứu đa trung tâm trên bệnh nhân mắc bệnh máu ác tính cho thấy tỷ lệ sống thêm toàn bộ, sống thêm không tái phát là tương đương giữa nhóm ghép MDR đơn vị đơn và ghép NHH [13]. Dù MDR vẫn có thời gian mọc mảnh ghép bạch cầu trung tính và tiểu cầu chậm hơn (20 ngày so với 16 ngày ở nhóm người hiến NHH), nhưng tỷ lệ tử vong và tái phát không khác biệt có ý nghĩa giữa hai nhóm [13].

4. NHỮNG CHỈ ĐỊNH ƯU THẾ CỦA MÁU DÂY RỐN TRONG THỜI ĐẠI HIỆN NAY

Mặc dù sự trỗi dậy của ghép NHH đã làm thay đổi đáng kể bản đồ ghép tế bào gốc, MDR vẫn khó được thay thế trong nhiều tình huống lâm sàng nhờ vào những đặc tính sinh học và miễn dịch đặc biệt [10].

Trong một số bệnh lý rối loạn chuyển hóa bẩm sinh như hội chứng Hurler, bệnh Krabbe hay loạn dưỡng chất trắng, mục tiêu của ghép là cung cấp nguồn tế bào tạo ra những enzyme đang bị thiếu hụt [12]. Nguồn người hiến NHH như cha mẹ là những người mang gen dị hợp tử sẽ có khả năng tạo enzyme thấp hơn người bình thường. Ngược lại, MDR từ ngân hàng cho phép chọn đơn vị không mang gen bệnh với hoạt tính enzyme bình thường, giúp đạt được nồng độ enzyme trong huyết thanh cao hơn và ổn định chức năng thần kinh tốt hơn [12]. Nhiều báo cáo cho thấy MDR giúp ngăn chặn sự tiến triển của các tổn thương chất trắng và bảo tồn khả năng nhận thức, ngôn ngữ nếu được thực hiện sớm ở giai đoạn chưa có triệu chứng hoặc triệu chứng nhẹ [12].

Hiệu ứng chống tế bào ác tính của MDR được đánh giá là mạnh mẽ và đặc biệt hiệu quả ở nhóm bệnh nhân nguy cơ cao [10,14]. Nghiên cứu của Milano và cộng sự (2016) ghi nhận ở những bệnh nhân có bệnh tồn dư tối thiểu dương tính trước ghép, MDR mang lại tỷ lệ tái phát thấp hơn rõ rệt so với ghép từ người hiến không cùng huyết thống phù hợp hoặc không phù hợp HLA; sống thêm toàn bộ (OS) ít nhất tương đương nhóm phù hợp HLA và cao hơn nhóm không phù hợp HLA [18]. Cơ chế được giải thích có thể do trong MDR nhiều tế bào T và tế bào NK có hiệu ứng chống tế bào ác tính hiệu quả hơn so với ghép từ nguồn NHH [6,9,14]. Điều này khiến MDR có thể được cân nhắc là lựa chọn ưu tiên cho những bệnh nhân không thể đạt được tình trạng bệnh tồn dư tối thiểu âm tính trước khi tiến hành ghép.

Vấn đề thời gian cung ứng cũng là điểm khác biệt quan trọng. Ghép tế bào gốc (TBG) từ NHH đòi hỏi phải có người thân được chuẩn bị kỹ lưỡng và đủ điều kiện sức khỏe hiến tế bào gốc [10]. Đối với các bệnh lý tiến triển nhanh (như lơ xê mi cấp dòng tủy nguy cơ rất cao hoặc suy tủy xương nặng đang nhiễm trùng), việc chờ đợi hoặc chuẩn bị người hiến NHH có thể làm mất đi thời điểm vàng trong điều trị. Ngược lại, MDR có thể được vận chuyển và sẵn sàng ghép trong vòng vài ngày đến vài tuần, giúp cho người bệnh cần ghép sớm có thể sử dụng ngay, không cần chờ đợi [14]. Ngoài ra, với yêu cầu hòa hợp HLA ít nghiêm ngặt, MDR mở rộng khả năng tiếp cận ghép cho hơn 95% bệnh nhân, đặc biệt là những người thuộc nhóm dân tộc thiểu số hoặc có kiểu gen hiếm mà không thể tìm được người hiến phù hợp trên các ngân hàng người hiến quốc tế [6].

Bên cạnh đó, MDR vẫn là một lựa chọn

quan trọng cho các hội chứng suy tủy xương khi không có người hiến phù hợp [19]. Ghép MDR cùng huyết thống phù hợp HLA cho kết quả sống thêm lên đến 95% ở nhóm bệnh nhân suy tủy mắc phải và nguy cơ GvHD mạn rất thấp. Đối với bệnh nhân suy tủy xương bẩm sinh như thiếu máu Fanconi, MDR từ cộng đồng cũng đã đạt được những thành công đáng kể nhờ cải thiện phác đồ điều kiện hóa [19].

Hiện nay, mục tiêu của ghép tế bào gốc nói chung không chỉ là sống còn mà còn là sống khỏe mạnh không có biến chứng [1,10]. Nguồn MDR có tỷ lệ gây GvHD mạn tính thấp nhất trong các nguồn tế bào [10,14]. Điều này rất có ý nghĩa đối với bệnh nhân nhi hoặc bệnh nhân mắc các bệnh lành tính, nơi mà GvHD mạn tính có thể gây ra những di chứng nặng nề suốt đời và ảnh hưởng nghiêm trọng đến chất lượng sống [6].

Trong thực hành ghép lâm sàng những năm gần đây, người ta kết hợp 2 nguồn NHH và MDR để tận dụng ưu điểm của mỗi nguồn như khả năng mọc mảnh ghép nhanh của nguồn NHH và hiệu ứng chống tế bào ác tính mạnh mẽ, ít biến chứng mạn tính của MDR [20]. Cơ chế của phương pháp này là truyền thêm tế bào CD34+ từ người hiến NHH song song với ghép MDR, giúp rút ngắn thời gian mọc mảnh ghép bạch cầu trung tính xuống còn khoảng 11 ngày, tương đương hoặc nhanh hơn so với ghép NHH đơn thuần [20]. Các nghiên cứu cho thấy phương pháp kết hợp giúp giảm đáng kể tỷ lệ tái phát và cải thiện sống thêm toàn bộ, đặc biệt ở nhóm bệnh nhân lơ xê mi cấp giai đoạn tiến triển [21]. Tỷ lệ GvHD mạn tính ở nhóm kết hợp thấp hơn hẳn so với ghép NHH (4% so với 16% sau 1 năm) [20]. Ngoài ra, những nghiên cứu về tăng sinh số lượng tế bào MDR giúp những nhược điểm truyền thống của nguồn này như mọc ghép chậm và nhiễm trùng ngày càng được khắc phục, giúp mở rộng hơn lựa chọn ứng dụng trong hiện tại và tương lai [5,11].

Nhìn chung, mặc dù ghép NHH đang chiếm ưu thế về khả năng hồi phục sớm và chi phí, MDR vẫn duy trì kết quả sống sót tương đương trong nhiều báo cáo thực tế, đồng thời mang lại lợi ích đáng kể về việc giảm thiểu các biến chứng miễn dịch mạn tính.

Bảng 1. Tổng hợp ưu và nhược điểm của nguồn TBG MDR và NHH

Đặc điểm	Máu dây rốn	Người hiến nửa hòa hợp
Ưu điểm	Lưu trữ sẵn sàng sử dụng Ít khắt khe về hòa hợp HLA Nguy cơ GvHD mạn thấp Hiệu ứng chống tế bào ác tính mạnh Không rủi ro cho người hiến Ưu thế trong bệnh di truyền	Người hiến thường sẵn có Mọc mảnh ghép nhanh Phục hồi miễn dịch sớm Chi phí thấp hơn Có khả năng bổ sung tế bào gốc
Nhược điểm	Liều tế bào thấp Chậm mọc mảnh ghép Phục hồi miễn dịch chậm Chi phí mua đơn vị tế bào gốc cao Không tăng cường liều được do tính duy nhất	Nguy cơ GvHD mạn cao hơn Phụ thuộc vào tình trạng của người hiến Hạn chế trong bệnh di truyền

5. KẾT LUẬN

Trong kỷ nguyên hiện nay, sự trỗi dậy mạnh mẽ của ghép NHH đã làm thay đổi sâu sắc bản đồ ghép tế bào gốc tạo máu toàn cầu. Với lợi thế

về tốc độ mọc mảnh ghép, khả năng tiếp cận người hiến và chi phí thấp, ghép NHH hiện đã trở thành nguồn tế bào thay thế phổ biến nhất tại nhiều quốc gia. Tuy nhiên, qua việc phân tích sâu sắc các đặc điểm sinh học và kết quả ứng dụng lâm sàng, tế bào gốc MDR vẫn thể hiện lợi thế ở một số khía cạnh như hiệu ứng mảnh ghép chống lơ xê mi, chất lượng cuộc sống cải thiện nhờ giảm biến chứng GvHD mạn, ưu thế trong một số bệnh lý bẩm sinh. Nguồn MDR không bị thay thế bởi sự ứng dụng mạnh mẽ của nguồn NHH mà được lựa chọn với những vai trò chuyên biệt và đặc thù hơn. Những chiến lược hiện đại nhằm khắc phục những nhược điểm của MDR như tăng sinh tế bào, ghép NHH kết hợp MDR đã và đang từng bước đem MDR trở lại, giúp cho hiệu quả ứng dụng tối ưu hơn và cá thể hóa hơn. Sự tồn tại song song của cả ghép NHH và MDR không phải là sự loại trừ, mà là sự bổ sung quý giá, giúp nhiều bệnh nhân hơn có cơ hội được cứu sống bằng kỹ thuật ghép tế bào gốc phù hợp nhất.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

1. Dholaria B, Labopin M, Sanz J, et al. Allogeneic hematopoietic cell transplantation with cord blood versus mismatched unrelated donor with post-transplant cyclophosphamide in acute myeloid leukemia. *J Hematol Oncol*. 2021;14(1):76. doi:10.1186/s13045-021-01086-2
2. Fuchs EJ, O'Donnell PV, Eapen M, et al. Double unrelated umbilical cord blood vs HLA-haploidentical bone marrow transplantation: the BMT CTN 1101 trial. *Blood*. 2021;137(3):420-428. doi:10.1182/blood.2020007535
3. Wu R, Ma L. Haploidentical hematopoietic stem cell transplantation versus umbilical cord blood transplantation in hematologic malignancies: a systematic review and meta-analysis. *Cell Transplant*. 2020;29:963689720964771. doi:10.1177/0963689720964771
4. Ballen K. Umbilical cord blood transplantation: challenges and future directions. *Stem Cells Transl Med*. 2017;6(5):1312-1315. doi:10.1002/sctm.17-0069
5. Kindwall-Keller TL, Ballen KK. Umbilical cord blood: the promise and the uncertainty. *Stem Cells Transl Med*. 2020;9(10):1153-1162. doi:10.1002/sctm.19-0288
6. Sanchez-Petitto G, Rezvani K, Daher M, et al. Umbilical cord blood transplantation: connecting its origin to its future. *Stem Cells Transl Med*. 2023;12(2):55-71. doi:10.1093/stcltm/szac086
7. Võ Thị Thanh Bình, Nguyễn Bá Khanh, Nguyễn Thị Nhung, và cộng sự. Bước đầu nghiên cứu kết quả ghép tế bào gốc đồng loài từ máu dây rốn tại Viện Huyết học – Truyền máu TW 12/2014-12/2016. *Tạp chí Y học Việt Nam*. 2017;453:124-134.
8. Võ Thị Thanh Bình, Nguyễn Vũ Bảo Anh, Nguyễn Bá Khanh, và cộng sự. Đánh giá kết quả ghép tế bào gốc nửa hoà hợp có sử dụng cyclophosphamide sau truyền tế bào gốc để điều trị một số bệnh máu ác tính tại Viện Huyết học - Truyền máu TW giai đoạn (2019 - 2022). *Tạp chí Y học Việt Nam*. 2022;520(2):33-40.
9. Liu JH, Kanakry CG, Luznik L. Have haploidentical transplants replaced umbilical cord transplants for acute leukemias? *Curr Opin Hematol*. 2018;25(2):103-111. doi:10.1097/MOH.0000000000000412
10. Zhu X, Tang B, Sun Z. Umbilical cord blood transplantation: still growing and improving.

Stem Cells Transl Med. 2021;10(suppl 2):S62-S74. doi:10.1002/sctm.20-0495

11. Nagler A, Mohty M. In 2022, which is preferred: haploidentical or cord transplant? *Hematology Am Soc Hematol Educ Program*. 2022;2022(1):64-73. doi:10.1182/hematology.2022000327
12. Prasad VK, Kurtzberg J. Cord blood and bone marrow transplantation in inherited metabolic diseases: scientific basis, current status and future directions. *Br J Haematol*. 2010;148(3):356-372. doi:10.1111/j.1365-2141.2009.07974.x
13. Wada F, Kanda J, Yoshioka S, et al. Single cord blood transplantation versus HLA-haploidentical-related donor transplantation using posttransplant cyclophosphamide in patients with hematological malignancies. *Transplantation*. 2022;106(6):1279-1287. doi:10.1097/TP.0000000000004006
14. Wynn R, Nataraj R, Nadaf R, Poulton K, Logan A. Strategies for success with umbilical cord haematopoietic stem cell transplantation in children with malignant and non-malignant disease indications. *Front Cell Dev Biol*. 2022;10:836594. doi:10.3389/fcell.2022.836594
15. Mayani H. Umbilical cord blood hematopoietic cells: from biology to hematopoietic transplants and cellular therapies. *Arch Med Res*. 2024;55(6):103042. doi:10.1016/j.arcmed.2024.103042
16. Brunstein CG, Fuchs EJ, Carter SL, et al. Alternative donor transplantation after reduced intensity conditioning: results of parallel phase 2 trials using partially HLA-mismatched related bone marrow or unrelated double umbilical cord blood grafts. *Blood*. 2011;118(2):282-288. doi:10.1182/blood-2011-03-344853
17. Liu Y, Liang Z, Ren H, et al. Comparative retrospective analysis of cord blood transplantation with ATG-containing conditioning regimens and haploidentical stem cell transplantation: similar survival outcomes with reduced incidence of GVHD. *Ann Med*. 2025;57(1):2447402. doi:10.1080/07853890.2024.2447402
18. Milano F, Gooley T, Wood B, et al. Cord-blood transplantation in patients with minimal residual disease. *N Engl J Med*. 2016;375(10):944-953. doi:10.1056/NEJMoa1602074
19. Pagliuca S, Ruggeri A, Peffault de Latour R. Cord blood transplantation for bone marrow failure syndromes: state of art. *Stem Cell Investig*. 2019;6:39. doi:10.21037/sci.2019.10.04
20. van Besien K, Artz A, Champlin RE, et al. Haploidentical vs haplo-cord transplant in adults under 60 years receiving fludarabine and melphalan conditioning. *Blood Adv*. 2019;3(12):1858-1867. doi:10.1182/bloodadvances.2019000200
21. van Besien K, Liu H, Margevicius S, et al. Haplo-cord transplant. Realizing the potential of umbilical cord blood grafts. A review of techniques and analysis of outcomes. *Leuk Lymphoma*. 2024;65(10):1384-1397. doi:10.1080/10428194.2024.2361353

ABSTRACT

THE ROLE OF UMBILICAL CORD BLOOD HEMATOPOIETIC STEM CELL TRANSPLANTATION IN THE ERA OF HLA-HAPLOIDENTICAL TRANSPLANTATION

Objective: To analyze the characteristics and clinical efficacy of umbilical cord blood and haploidentical donors as stem cell sources in allogeneic hematopoietic stem cell transplantation.

Results: Each stem cell source has distinct advantages and disadvantages. In clinical applications, these two sources yield comparable post-transplant survival rates in many reports. Stem cell sources from haploidentical donors offer advantages in terms of engraftment and cost-effectiveness. Meanwhile, umbilical cord blood demonstrates a potent graft-versus-tumor effect in high-risk patients, improves long-term quality of life, and is more suitable for certain congenital disorders.

Conclusion: A comprehensive and objective analysis of the characteristics of umbilical cord blood during the current boom of haploidentical transplantation will help accurately define the role of each source. Furthermore, it enables precise and individualized selection for each patient requiring treatment. Combining cord blood and haploidentical transplants is emerging as an effective trend to leverage the advantages and overcome the disadvantages of both sources.

Keywords: *stem cell transplantation, umbilical cord blood, haploidentical.*