BƯỚC ĐẦU ĐÁNH GIÁ HIỆU QUẢ ĐIỀU TRỊ LIỆU PHÁP ỨC CHẾ MIỄN DỊCH TRÊN NGƯỜI BỆNH SUY TỦY DÒNG HỒNG CẦU MẮC PHẢI TẠI BỆNH VIỆN TRUYỀN MÁU HUYẾT HỌC

Đào Thị Thu Hiền[1]
Nguyễn Văn Tài[2]
Huỳnh Thiện Ngôn[1]
Trịnh Lê Quốc Vũ[1]
Phù Chí Dũng[1]

[1] *Bệnh viện Truyền máu Huyết học*
[2] *Đại học Y Dược Thành phố Hồ Chí Minh*

Tác giả chịu trách nhiệm
Đào Thị Thu Hiền
Bệnh viện Truyền máu Huyết học
Email: thuhienbee2@gmail.com

Ngày nhận bài: 10/08/2026
Ngày phản biện: 23/10/2026
Ngày đồng ý đăng: 15/11/2026

DOI: 10.52322/jocmbmh.156.0213

TÓM TẮT

Mục tiêu: Mô tả đặc điểm lâm sàng, sinh học của người bệnh suy tủy xương dòng hồng cầu (STXDHC) mắc phải, và đánh giá hiệu quả ban đầu và tính an toàn của các phác đồ ức chế miễn dịch (ƯCMD).

Đối tượng và phương pháp nghiên cứu: Thiết kế nghiên cứu hồi cứu mô tả hàng loạt ca trên người bệnh STXDHC mắc phải được điều trị với liệu pháp ƯCMD tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học từ 01/01/2018 đến 31/12/2025.

Kết quả: Nghiên cứu bao gồm 23 người bệnh STXDHC mắc phải với tuổi trung vị 47 tuổi (26–79), trong đó nữ giới chiếm 65,2%. STXDHC thứ phát chiếm 65,2% trường hợp; bệnh bạch cầu tế bào lympho T dạng hạt lớn (T-LGLL) là nguyên nhân thường gặp nhất (34,8%), tiếp theo là u tuyến ức (17,4%). Có 18 người bệnh được điều trị bằng phác đồ ƯCMD. Tỷ lệ đáp ứng toàn thể với ƯCMD là 77,8% ở điều trị hàng một và 75% ở hàng hai. Cyclosporine A (CsA) được sử dụng phổ biến nhất với tỷ lệ đáp ứng toàn thể hàng 1 của CsA đơn trị liệu 77,8% hay CsA phối hợp là 100%. Sau thời gian theo dõi trung vị 22,3 tháng, tỷ lệ sống còn không tái phát là 84,8%.

Kết luận: Các phác đồ ƯCMD có sử dụng CsA, dù đơn trị hay phối hợp, đều cho thấy hiệu quả bước đầu với tỷ lệ đáp ứng ở điều trị hàng một trên 70%; đáp ứng nhìn chung được duy trì trong thời gian theo dõi, dù vẫn ghi nhận 3 trường hợp tái phát. Các độc tính của phác đồ ƯCMD có thể kiểm soát được trên người bệnh STXDHC.

Từ khóa: *Suy tủy xương dòng hồng cầu, liệu pháp ức chế miễn dịch, cyclosporine A.*

1. ĐẶT VẤN ĐỀ

Suy tủy xương dòng hồng cầu (STXDHC) là một rối loạn tủy xương hiếm gặp, đặc trưng bởi tình trạng thiếu máu nặng, giảm hồng cầu lưới và giảm tế bào tiền thân hồng cầu trong khi các tế bào dòng tủy khác được bảo tồn [1]. STXDHC có thể ở dạng bẩm sinh, điển hình là thiếu máu Diamond–Blackfan, hoặc mắc phải. STXDHC mắc

phải được chia thành nguyên phát và thứ phát. Các trường hợp mắc phải nguyên phát thường là các rối loạn tự miễn, trong đó hệ miễn dịch tấn công nhầm vào các tế bào tiền thân hồng cầu, gây suy giảm sản xuất hồng cầu. STXDHC thứ phát thường liên quan đến các bệnh lý u tuyến ức hoặc bệnh lý huyết học ác tính như bệnh bạch cầu tế bào lympho T dạng hạt lớn (T-cell Large Granular Lymphocytic Leukemia - T-LGLL), bệnh lý tự miễn hệ thống, thuốc hoặc do nhiễm trùng, trong đó parvovirus B19 được ghi nhận là tác nhân phổ biến nhất [1,2].

Điều trị STXDHC tùy thuộc nguyên nhân nhưng các liệu pháp ức chế miễn dịch (ƯCMD) là phương pháp chủ đạo. Cyclosporine A (CsA) được xem là thuốc ƯCMD hiệu quả nhất, với tỷ lệ đáp ứng toàn thể khoảng 74%, thậm chí ở những người bệnh (NB) đã điều trị nhiều liệu pháp không thành công trước đó. Vì vậy, CsA thường được lựa chọn làm liệu pháp đầu tay trong điều trị STXDHC [3,4].

Do STXDHC là bệnh hiếm gặp và số lượng nghiên cứu còn hạn chế, phương pháp điều trị tối ưu đến nay vẫn chưa được thống nhất. Việc tiếp cận điều trị chủ yếu dựa trên các nghiên cứu (NC) quan sát và báo cáo ca lâm sàng [3-6]. Tại Việt Nam, dữ liệu về đặc điểm lâm sàng và hiệu quả điều trị bệnh còn rất hạn chế.

Vì vậy, chúng tôi tiến hành NC "Đánh giá hiệu quả điều trị với liệu pháp ƯCMD trên người bệnh STXDHC mắc phải tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học" nhằm cung cấp dữ liệu thực tiễn về đặc điểm lâm sàng, sinh học của NB STXDHC, cũng như hiệu quả và tính an toàn của liệu pháp ƯCMD. Kết quả từ nghiên cứu được kỳ vọng sẽ hỗ trợ việc xây dựng phác đồ chẩn đoán và điều trị cho bệnh lí này tại Việt Nam.

2. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP NGHIÊN CỨU

2.1. Đối tượng nghiên cứu: NB được chẩn đoán STXDHC mắc phải.

2.2. Phương pháp nghiên cứu

Thiết kế nghiên cứu: Nghiên cứu hồi cứu mô tả hàng loạt ca

Tiêu chuẩn chọn đối tượng: Nghiên cứu gồm NB chẩn đoán STXDHC mắc phải. Đặc điểm lâm sàng, sinh học và nguyên nhân được phân tích trên tất cả NB trong khi hiệu quả và an toàn điều trị được đánh giá trên nhóm nhận ƯCMD có dữ liệu phù hợp tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học từ 01/01/2018 đến 31/12/2025.

Tiêu chuẩn chẩn đoán bệnh được dựa trên bài báo tổng quan đã công bố [1], bao gồm các tiêu chí sau:

- Thiếu máu đẳng sắc đẳng bào đã loại trừ do các nguyên nhân khác.

- Số lượng hồng cầu lưới < 10 G/L, tỉ số phần trăm hồng cầu lưới < 1%

- Số lượng bạch cầu (BC), tiểu cầu (TC), phết máu ngoại biên trong giới hạn bình thường.

- Vắng mặt hoặc gần như vắng mặt tế bào tiền thân dòng hồng cầu (HC), tỷ lệ thường < 5% tế bào có nhân trong tủy xương, trong khi dòng BC, dòng TC trưởng thành bình thường. Mật độ tủy xương bình thường hoặc giảm gần như bình thường.

- Nồng độ erythropoietin thường cao hoặc rất cao.

Phương pháp chọn mẫu: chọn mẫu thuận tiện

Tiêu chuẩn đánh giá:

- Đáp ứng một phần (Partial Response - PR): NB không còn phụ thuộc truyền máu nhưng

Hgb chưa về mức bình thường qua ít nhất hai lần xét nghiệm cách nhau ≥ 4 tuần.

- Đáp ứng hoàn toàn (Complete response - CR): NB không còn tình trạng thiếu máu (Hgb ≥ 12 g/dL) và không phụ thuộc truyền máu qua ít nhất hai lần xét nghiệm cách nhau ≥ 4 tuần.

- Đáp ứng toàn thể (Overall response - OR): tổng của đáp ứng một phần và đáp ứng hoàn toàn.

- Không đáp ứng (Nonresponse - NR): NB vẫn phụ thuộc truyền máu sau 6 tháng điều trị.

- Tái phát (Relapse): Sống còn không tái phát (RFS) được phân tích trên những NB đạt CR hoặc PR ở bất kỳ hàng điều trị nào. Tái phát được xác định khi NB cần truyền máu trở lại.

Phác đồ điều trị: Chuyển hàng điều trị được xác định khi NB không đạt đáp ứng với phác đồ trước đó và cần thay đổi hoặc bổ sung ƯCMD. Các trường hợp tái phát sau khi đã đạt đáp ứng không tính là thất bại điều trị ban đầu. Hiệu quả điều trị được đánh giá theo từng hàng, trong đó NB chuyển sang hàng sau vẫn thuộc đoàn hệ ban đầu.

Phương pháp toán thống kê được áp dụng: Do cỡ mẫu nhỏ nên chỉ sử dụng các phương pháp thống kê mô tả và phân tích sống còn Kaplan–Meier.

Vấn đề đạo đức: nghiên cứu đã được sự đồng ý và phê duyệt của Hội đồng Đạo đức Bệnh viện Truyền máu Huyết học, mã số CS/TMHH/26/11.

3. KẾT QUẢ

3.1. Đặc điểm lâm sàng, sinh học và phân loại nguyên nhân của người bệnh STXDHC

Nghiên cứu gồm 23 NB STXDHC mắc phải, trong đó 18 người được điều trị ƯCMD. Đặc điểm lâm sàng, sinh học và căn nguyên được phân tích trên 23 NB, hiệu quả và an toàn điều trị được đánh giá trên nhóm nhận ƯCMD có dữ liệu phù hợp. Các đặc điểm lâm sàng, sinh học và phân loại nguyên nhân của NB được trình bày trong Bảng 1.

Bảng 1. Đặc điểm lâm sàng và sinh học của NB

	Nghiên cứu này	NC của Xuemei Wu [5]	NC của S Thibile [6]
Đặc điểm	**Số lượng (%) (N=23)**	**Số lượng (%) (N=100)**	**Số lượng (%) (N=27)**
Tuổi (trung vị, khoảng, năm)	47 (26 - 79)	57 (28 - 88)	35,9 (20 - 65)
Phân loại nguyên nhân			
Nguyên phát	8 (34,8%)	60 (60%)	6 (22,2%)
Thứ phát	15 (65,2%)	40 (40%)	20 (74,1%)
U tuyến ức	4 (17,4%)	6 (15%)	
T-LGLL	8 (34,8%)	28 (70%)	
Bệnh lý tự miễn hệ thống	2 (8,7%)	2 (5%)	
U đặc (ung thư buồng trứng)	1 (4,3%)		
Giới tính			
Nữ	15 (65,2%)	53 (53%)	22 (81,5%)

	Nghiên cứu này	NC của Xuemei Wu [5]	NC của S Thibile [6]
Đặc điểm	**Số lượng (%) (N=23)**	**Số lượng (%) (N=100)**	**Số lượng (%) (N=27)**
Nam	8 (34,8%)	47 (47%)	5 (18,5%)
Biểu hiện huyết học			
Hgb (trung vị, khoảng, g/dL)	6,5 (3,0 - 7,7)	5,6 (2,2 - 10,6)	
Hgb 5,1-7 g/dL	10 (43,5%)		5 (18,5%)
Hgb ≤5 g/dL	6 (26,1%)		22 (81,5%)
RBC (trung vị, khoảng, 10^{12}/L)	2,13 (0,99 – 2,56)	1,77 (0,86 – 3,2)	
Tỉ lệ hồng cầu lưới (HCL) (trung vị, khoảng, %)	0,21 (0,08 – 1,04)	0,39 (0,07 – 1,76)	
HCL tuyệt đối (trung vị, khoảng, G/L)	4,7 (1,1 – 26,6)		
BC tổng (trung vị, khoảng, K/µL)	5,8 (2,9 – 11,6)	4,6 (1,4 - 22,7)	
TC (trung vị, khoảng, K/µL)	380 (112 – 636)	222 (48 - 583)	
Ferritin (trung vị, khoảng, ng/ml)	1.465 (356 - 5.940)	549 (112 - 3.872)	
Erythropoietin (trung vị, khoảng, mIU/ml)	370 (289-750)		
Biểu hiện tủy xương			
Mật độ tủy xương (trung vị, khoảng,%)	30 (10 – 70)		
Tỉ lệ dòng HC CD71 mẫu sinh thiết tủy (trung vị, khoảng, %, n)	3 (0 – 5) (12)		
Tỉ lệ M/E	10/1 (5/1-20/1)		

3.2. Hiệu quả liệu pháp ức chế miễn dịch

3.2.1. Điều trị hàng một

18/23 NB được khởi trị bằng các phác đồ gồm CsA đơn trị, CsA phối hợp corticosteroid (CS), methotrexate (MTX) đơn trị hoặc phối hợp CsA-MTX (Bảng 2). Tỉ lệ đạt OR với điều trị hàng một là 77,8% trong đó CR là 33,3%, PR là 44,4% và 22,2% là NR. Cụ thể là CsA đơn trị là phác đồ được sử dụng phổ biến nhất với 9 NB, đạt tỷ lệ OR 77,8%, bao gồm 3 trường hợp CR, 4 trường hợp PR và 2 trường hợp NR. Ba trường hợp đạt CR đều thuộc nhóm STXDHC liên quan u tuyến ức, trong khi hai trường hợp NR đều liên quan T-LGLL. Liều CsA khởi đầu là 3-5 mg/kg/ngày và liều duy trì là 3 mg/kg/ngày.

Đối với phác đồ CsA phối hợp, tỉ lệ đạt đáp ứng là 100%. 3 NB được điều trị bằng CsA phối hợp CS đều đạt đáp ứng (1 CR, 2 PR; OR 100%). Trong khi đó, cả 3 NB điều trị bằng phác đồ phối hợp CsA-MTX đều đạt đáp ứng (2 CR, 1 PR; OR 100%).

3 NB STXDHC liên quan T-LGLL điều trị MTX đạt OR 33,3% (1 PR, 2 NR).

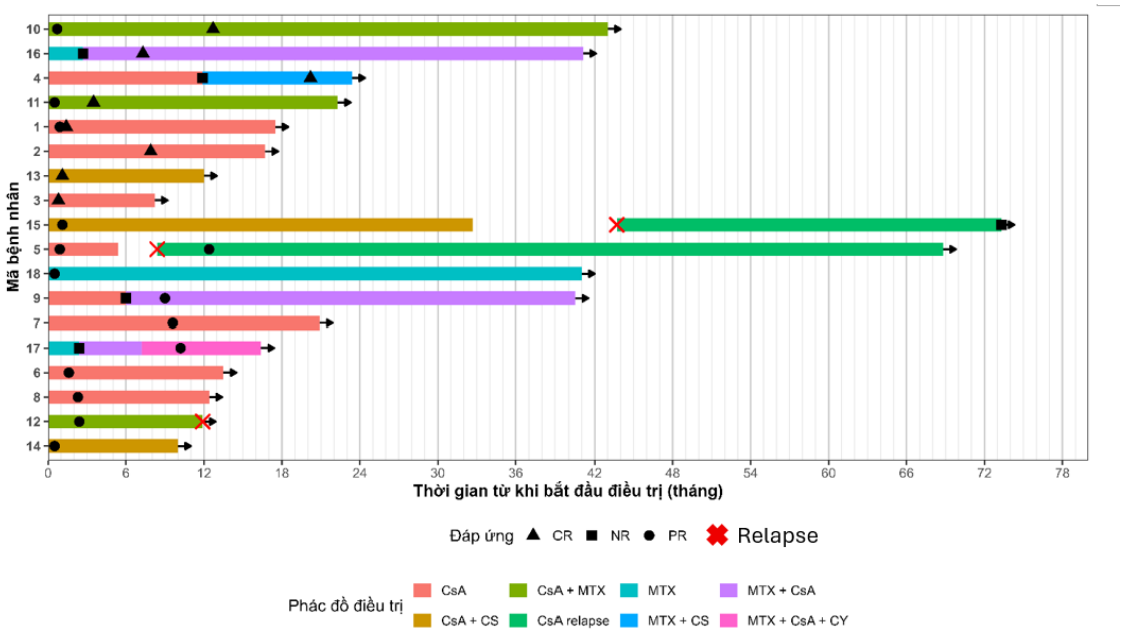
3.2.2. Điều trị hàng hai

Có 4 NB cần chuyển sang điều trị hàng hai do không đáp ứng với điều trị ban đầu và tất cả đều thuộc nhóm STXDHC liên quan T-LGLL. Tỉ lệ OR là 75%. Ba NB được điều trị bằng CsA-MTX, đạt OR 66,7% (1 CR, 1 PR, 1 NR). Một NB được

điều trị bằng MTX-CS và đạt CR sau 12 tháng điều trị.

3.2.3. Điều trị hàng ba

Một NB thất bại với điều trị hàng hai được điều trị bằng phác đồ phối hợp MTX, CsA và cyclophosphamide (CYC). NB đạt đáp ứng PR sau 3 tháng điều trị và duy trì đáp ứng đến thời điểm đánh giá cuối cùng.



Hình 1. Swimmer plot của các NB điều trị ƯCMD

Diễn tiến điều trị của từng bệnh nhân được biểu hiện qua Hình 1.

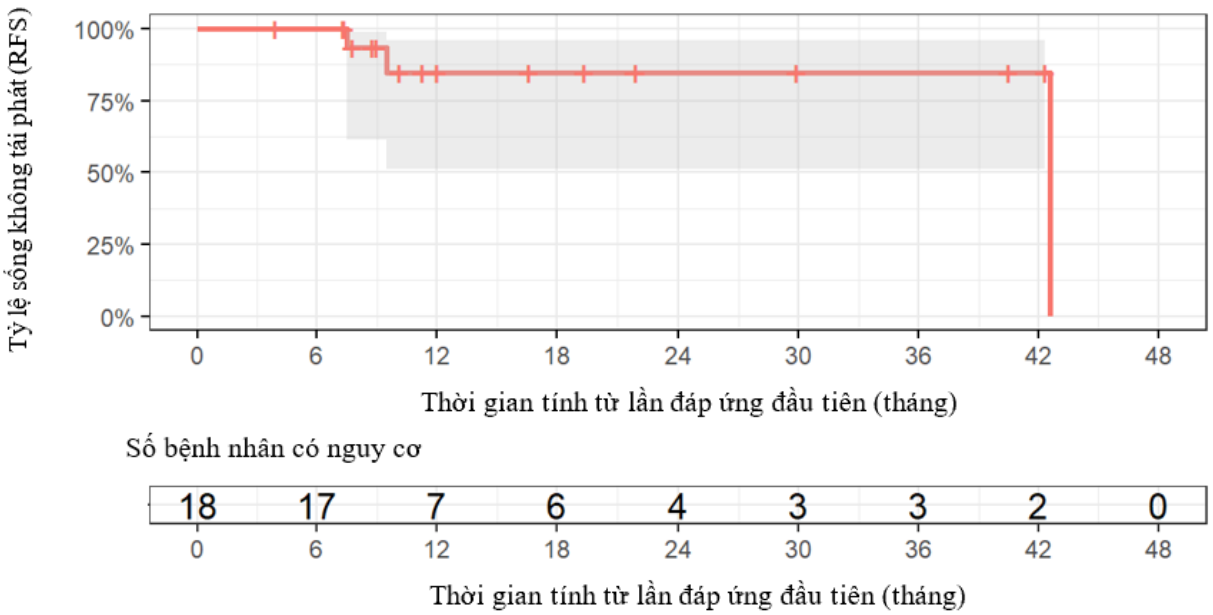
3.3. Tỷ lệ sống còn không tái phát và sống còn toàn bộ

Trong 18 người bệnh điều trị ƯCMD, có 14 người đạt đáp ứng ở hàng một, 3 người ở hàng hai và 1 người ở hàng ba. Tất cả 18 người bệnh được đưa vào phân tích RFS. Sau thời gian theo dõi trung vị 22,3 tháng (1,0-73,2 tháng), ghi nhận 3 trường hợp tái phát. Tỷ lệ RFS ước tính tại 12, 24 và 36 tháng đều đạt 84,8%. Số người bệnh còn nguy cơ tại các thời điểm tương ứng là 7, 4 và 3; tại tháng 42 chỉ còn 2 người bệnh (Hình 2). Không ghi nhận trường hợp tử vong nào trong thời gian theo dõi.

Bảng 2. Đáp ứng với các liệu pháp ức chế miễn dịch (n = 18)

Hàng điều trị	Phác đồ	Số ca (n)	Đáp ứng hoàn toàn (CR)	Đáp ứng một phần (PR)	Không đáp ứng (NR)	Tỉ lệ đáp ứng toàn thể (OR), % (KTC 95%)
Hàng 1	Tổng số	18				
	CsA	9	3	4	2	77,8 (45,3–93,7)
	CsA + CS	3	1	2		100 (43,9–100)
	MTX	3		1	2	33,3 (6,1–79,2)
	CsA + MTX	3	2	1		100 (43,9–100)

Hàng điều trị	Phác đồ	Số ca (n)	Đáp ứng hoàn toàn (CR)	Đáp ứng một phần (PR)	Không đáp ứng (NR)	Tỉ lệ đáp ứng toàn thể (OR), % (KTC 95%)
Hàng 2	Tổng số	4				
	CsA + MTX	3	1	1	1	66,7 (20,8–93,9)
	MTX + CS	1	1			100 (20,7–100)
Hàng 3	Tổng số	1				
	CsA + MTX + CYC	1		1		100 (20,7–100)



Hình 2. Đường cong Kaplan–Meier về tỷ lệ sống không tái phát (RFS)

3.4. Biến cố bất lợi khi điều trị

Các biến cố bất lợi liên quan đến điều trị (AEs) được đánh giá theo tiêu chuẩn CTCAE (Common Terminology Criteria for Adverse Events) phiên bản 5.0 và được trình bày trong Bảng 3. Nhìn chung, các phác đồ ƯCMD được dung nạp tương đối tốt và phần lớn các biến cố bất lợi ở mức độ 2 (trung bình). Tổn thương thận là thường gặp nhất, được ghi nhận ở 6 NB (33,3%), trong đó có 2 trường hợp (11,1%) độ 3 cần tạm ngưng CsA. Tăng men gan xảy ra ở 4 NB (22,2%), với 1 trường hợp (5,6%) độ 3 phải tạm ngưng điều trị. Có 3 trường hợp viêm phổi (16,7%), trong đó có 1 NB biến cố độ 3. Không ghi nhận trường hợp tử vong liên quan đến điều trị hoặc biến cố bất lợi đe dọa tính mạng.

Bảng 3. Các biến cố bất lợi khi điều trị theo tiêu chuẩn CTCAE phiên bản 5.0

Số lượng ca	Biến cố bất lợi	Mức độ (CTCAE v5.0)	Nguyên nhân nghi ngờ	Hướng xử trí (n)	Thời gian thuyên giảm (ngày)
4/18	Tăng men gan	Độ 2-3	CsA	Giảm liều thuốc (2)/ tạm ngưng (2)	7-28
6/18	Tổn thương thận cấp	Độ 2-3	CsA	Giảm liều thuốc (4)/ tạm ngưng (2)	14-56
1/18	Giảm bạch cầu hạt	Độ 3	Cyclophosphamide	Giảm liều thuốc	14
3/18	Viêm phổi	Độ 2-3	CsA + Met	Kháng sinh tĩnh mạch	14
1/18	Zona thần kinh	Độ 2	CsA + Met	acyclovir + điều trị triệu chứng	7
1/18	Lao tái hoạt	Độ 3	CsA	Tạm ngưng thuốc, điều trị kháng lao	28

4. BÀN LUẬN

Trong NC của chúng tôi, dữ liệu được thu thập từ 23 NB chẩn đoán STXDHC. STXDHC mắc phải có thể là một bệnh lý nguyên phát hoặc thứ phát sau một rối loạn hay tác nhân khác. Trong NC 27 NB STXDHC mắc phải của S Thibile [6], STXDHC thứ phát chiếm 74,1% tương đương với báo cáo của chúng tôi, trong đó thứ phát (65,2%) chiếm ưu thế hơn nguyên phát. Trong nhóm thứ phát, STXDHC liên quan đến u tuyến ức và T-LGLL là những nguyên nhân thường gặp nhất phù hợp với kết quả trong NC tổng hợp của Hervé Lobbes [3]. STXDHC liên quan bệnh lí tự miễn ít gặp chỉ chiếm 3% [3] so với báo cáo của chúng tôi là 8,7%.

Liệu pháp ƯCMD (bao gồm CsA, CS và CYC) là phương pháp điều trị chủ đạo, tuy nhiên sự khác biệt về hiệu quả lâm sàng và thiếu các NC so sánh khiến việc lựa chọn điều trị còn chưa thống nhất. Gần đây nhất, phân tích gộp từ 33 nghiên cứu cho thấy ƯCMD có hiệu quả trong điều trị STXDHC mắc phải với tỷ lệ đáp ứng chung khoảng 65,6% [4]. Theo phân tích gộp của Hervé Lobbes [3], CsA là thuốc được sử dụng phổ biến nhất (384 NB, 18 nghiên cứu), với tỷ lệ OR 74% (KTC 95%: 66-82), tương tự giữa điều trị hàng một (73%) và hàng hai (76%), cũng như khi dùng đơn trị (83%) hoặc phối hợp CS (77%). Kết quả này ủng hộ báo cáo của chúng tôi với tỉ lệ OR hàng 1 của CsA đơn trị liệu 77,8% hay CsA phối hợp là 100%.

Các thuốc ƯCMD chính trong điều trị STXDHC liên quan T-LGLL bao gồm CsA, MTX và CYC, trong đó, do độc tính của CYC và MTX, CsA thường được ưu tiên lựa chọn là liệu pháp hàng đầu, đặc biệt ở NB STXDHC [5]. Theo phân tích tổng hợp của Hervé Lobbes [3], CsA (81 NB, 8 nghiên cứu) đạt tỷ lệ OR 63,5%, CYC (48 NB, 5 nghiên cứu) đạt OR 61,3% và MTX (16 NB, 4 nghiên cứu) đạt OR 55,4%. Đáng chú ý, CsA và MTX cho tỷ lệ đáp ứng cao hơn ở điều trị hàng hai so với hàng một (68,8% so với 57,3% và 62,7% so với 29,1%), trong khi CYC có xu hướng hiệu quả hơn ở điều trị hàng một (68,2% so với 57,4%). Tuy nhiên, chúng tôi áp dụng phác đồ phối hợp CsA + MTX điều trị cho NB STXDHC liên quan T-LGLL dựa trên kết quả NC lâm sàng từ những NB T-LGLL tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học. Tỉ lệ đáp ứng hàng 1 với CsA + MTX là

100% trong khi CsA hay MTX đơn trị liệu lần lượt là 0% và 33,3% [7].

CsA là thuốc ƯCMD được sử dụng phổ biến nhất trong STXDHC liên quan u tuyến ức, với tỷ lệ đáp ứng chung 89,7%, chủ yếu ở điều trị hàng một và không phối hợp CS [3]. Kết quả của chúng tôi phù hợp với y văn khi ghi nhận OR đạt 100% (3/3), cả 3 NB đều được điều trị CsA đơn trị và đạt CR. Ngược lại, phẫu thuật cắt tuyến ức đơn thuần, không kèm liệu pháp ƯCMD, cho tỷ lệ đáp ứng thấp OR 2,4% [3], tương tự, cả 3 NB trong NC của chúng tôi đều đã được cắt tuyến ức trước đó nhưng vẫn còn biểu hiện thiếu máu.

Chúng tôi ghi nhận 8 NB STXDHC nguyên phát, trong đó 3 trường hợp được điều trị CsA đơn trị liệu và 1 trường hợp phối hợp CS. Tỷ lệ đáp ứng với điều trị hàng một đạt 100%, cao hơn so với kết quả phân tích gộp (OR 82,9%) [3] và báo cáo của Xuemei Wu (78,3%) [5].

Trong nghiên cứu, các AEs chủ yếu ở mức độ trung bình đến nặng (độ 2-3 theo CTCAE), cần điều chỉnh giảm liều và/hoặc tạm ngưng điều trị nhưng hồi phục sau đó mà không cần chuyển đổi thuốc. Các biến cố ghi nhận bao gồm tổn thương thận cấp và tăng men gan liên quan đến CsA, giảm bạch cầu hạt liên quan đến CYC, cùng với các nhiễm trùng cơ hội như viêm phổi và zona thần kinh, đặc biệt ở những trường hợp sử dụng phối hợp nhiều thuốc ƯCMD. Nhìn chung, các độc tính này phù hợp với hồ sơ an toàn đã được ghi nhận của các thuốc được sử dụng.

Nghiên cứu có hạn chế do thiết kế hồi cứu tại một trung tâm với cỡ mẫu nhỏ, nên chỉ sử dụng thống kê mô tả và chưa so sánh được hiệu quả giữa các phác đồ.

5. KẾT LUẬN

Nghiên cứu ghi nhận tỷ lệ đáp ứng toàn thể với liệu pháp ƯCMD ở người bệnh STXDHC mắc phải đạt 77,8% ở điều trị hàng một và 75% ở hàng hai. Các phác đồ có sử dụng CsA cho thấy hiệu quả bước đầu khả quan, tuy nhiên chưa đủ cơ sở để xác định phác đồ tối ưu do cỡ mẫu nhỏ. Đáp ứng điều trị nhìn chung được duy trì trong thời gian theo dõi, mặc dù vẫn ghi nhận các trường hợp tái phát. Các biến cố bất lợi chủ yếu ở mức độ 2-3 và có thể kiểm soát, nhưng một số trường hợp cần giảm liều hoặc tạm ngưng điều trị. Cần có những nghiên cứu với cỡ mẫu lớn hơn để xác định hiệu quả lâu dài và chiến lược điều trị tối ưu.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

1. Means RT. Pure red cell aplasia: the second hundred years. *Am J Med Sci*. 2023;366(3):160-166. doi:10.1016/j.amjms.2023.06.009
2. Balasubramanian SK, Sadaps M, Thota S, et al. Rational management approach to pure red cell aplasia. *Haematologica*. 2018;103(2):221-230. doi:10.3324/haematol.2017.175810
3. Lobbes H, Lega JC, Le Guenno G, Ruivard M, Mainbourg S. Treatment strategy for acquired pure red cell aplasia: a systematic review and meta-analysis. *Blood Adv*. 2023;7(21):6451-6465. doi:10.1182/bloodadvances.2023010587
4. Yusup M, He G, Qin Y, Tuerxun N, Hao J. Efficacy and influencing factors of immunosuppressive therapy for pure red cell aplasia: meta-analysis and systematic review. *Ann Hematol*. 2025;104(4):2189-2206. doi:10.1007/s00277-025-06315-z
5. Wu X, Cheng L, Liu X, et al. Clinical characteristics and outcomes of 100 adult patients with pure red cell aplasia. *Ann Hematol*. 2022;101(7):1493-1498. doi:10.1007/s00277-022-04847-2

6. Thibile S, Barrett C, Potgieter S, Joubert G, Malherbe J. Adult pure red cell aplasia at Universitas Academic Hospital, Bloemfontein, South Africa: a 9-year review. *S Afr Med J*. 2022;112(9):753-759. doi:10.7196/SAMJ.2022.v112i9.16416

7. Phan Xuân Việt, Hồ Mỹ Châu, Trịnh Thị Thúy An, Huỳnh Thiện Ngôn. Đánh giá ban đầu hiệu quả điều trị bệnh bạch cầu lympho T lớn có hạt tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học. *Tạp chí Y học Việt Nam*. 2025;552(Số đặc biệt):486-494.

ABSTRACT

PRELIMINARY EVALUATION OF THE EFFICACY OF IMMUNOSUPPRESSIVE THERAPY IN PATIENTS WITH ACQUIRED PURE RED CELL APLASIA AT THE BLOOD TRANSFUSION AND HEMATOLOGY HOSPITAL

Objective: To describe the clinical and laboratory characteristics of patients with acquired pure red cell aplasia (PRCA) and to evaluate the initial efficacy and safety of immunosuppressive therapy (IST).

Subjects and methods: We conducted a retrospective case-series study of patients with acquired PRCA treated at the Blood Transfusion and Hematology Hospital, Ho Chi Minh City, Vietnam, between January 2018 and December 2025.

Results: The study included 23 patients with acquired PRCA, with a median age of 47 years (range, 26–79), of whom 65.2% were female. Secondary PRCA accounted for 65.2% of cases; T-cell large granular lymphocytic leukemia (T-LGLL) was the most common underlying cause (34.8%), followed by thymoma (17.4%). Eighteen patients received immunosuppressive therapy (IST). The overall response rates to IST were 77.8% in the first-line setting and 75.0% in the second-line setting. Cyclosporine A (CsA) was the most commonly used agent, achieving a first-line overall response rate of 77.8% as monotherapy and 100% when used in combination regimens. After a median follow-up of 22.3 months, the relapse-free survival rate was 84.8%.

Conclusion: CsA-based IST, whether administered as monotherapy or in combination, demonstrated favorable preliminary efficacy, with first-line response rates exceeding 70%; responses were generally maintained during follow-up, although 3 relapses occurred. Treatment-related toxicities were manageable in patients with acquired PRCA.

Keywords: *Pure red cell aplasia, immunosuppressive therapy, cyclosporine A*