

CLINICAL AND PARACLINICAL CHARACTERISTICS AND TREATMENT OUTCOMES OF THALASSEMIA IN PEDIATRIC PATIENTS UNDER 15 YEARS OF AGE AT PEDIATRIC DEPARTMENT 1, LAO CAI PROVINCIAL GENERAL HOSPITAL NO. 1

Vu Thi Thuy Phuong¹, Ha Hoai Nam¹, Le Manh Hung¹, Tran Lan Anh¹, Dang Bach Yen¹, Tran Tuyet Nhung¹

¹Lao Cai Provincial General Hospital No. 1 - Tien Phong Residential Group, Au Lau Ward, Lao Cai Province, Vietnam

Received: 03/02/2026

Revised: 13/04/2026; Accepted: 18/06/2026

ABSTRACT

Objective: Describes the clinical and paraclinical characteristics and evaluates the treatment outcomes of thalassemia in patients under 15 years of age at the Pediatric Department 1 – Lao Cai Provincial General Hospital No. 1.

Research methods: A cross-sectional descriptive study was conducted on 133 pediatric patients under 15 years of age with a confirmed diagnosis of thalassemia who were receiving treatment at Lao Cai Provincial General Hospital No. 1 from March 2025 to November 2025.

Results: The pediatric patients had a mean age of 8.6 ± 3.4 years. β -thalassemia was the predominant type (87.2%); most children were diagnosed after 1 year of age (80.5%) and commonly presented with severe anemia (73.7%) accompanied by marked iron overload (over 60% with ferritin >1500 ng/mL). Blood transfusion significantly improved hemoglobin levels from 69.1 ± 13.9 g/L to 100.09 ± 17.52 g/L ($p < 0.05$) and was relatively safe, with no severe complications recorded. However, treatment adherence remained limited, with adherence rates of 52.6% for regular blood transfusion and intravenous iron chelation, 27.1% for oral iron chelation, and 46.6% for regular follow-up, while irregular adherence was still high (61.7%).

Conclusion: Blood transfusions provide significant and safe improvements in hemoglobin levels, but treatment adherence rates, particularly to oral chelation therapy and follow-up appointments, remain low. Improved management, counseling, and family support are needed to enhance treatment efficacy and quality of life for children.

Keywords: Treatment outcomes, pediatric patients, Thalassemia

*Corresponding author

Email: vuphuongxn@gmail.com Phone: (+84) 349648326 DOI: 10.52163/yhc.v67i6.5471

ĐẶC ĐIỂM LÂM SÀNG, CẬN LÂM SÀNG VÀ KẾT QUẢ ĐIỀU TRỊ THALASSEMIA CỦA BỆNH NHI TỪ 2 – 15 TUỔI TẠI KHOA NHI 1 – BỆNH VIỆN ĐA KHOA SỐ 1 TỈNH LÀO CAI

Vũ Thị Thúy Phương¹, Hà Hoài Nam¹, Lê Mạnh Hùng¹, Trần Lan Anh¹, Đặng Bạch Yến¹, Trần Tuyết Nhung¹

¹Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai - TPD Tiền Phong, phường Âu Lâu, tỉnh Lào Cai, Việt Nam

Ngày nhận bài: 03/02/2026

Ngày chỉnh sửa: 13/04/2026; Ngày duyệt đăng: 18/06/2026

TÓM TẮT

Mục tiêu: Mô tả đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng và kết quả điều trị Thalassemia của bệnh nhi từ 2 – 15 tuổi tại khoa Nhi 1 – Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai.

Phương pháp: Nghiên cứu mô tả cắt ngang trên 133 bệnh nhân nhi từ 2 – 15 tuổi được chẩn đoán xác định mắc Thalassemia và đang điều trị tại Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai từ tháng 03/2025 đến tháng 11/2025.

Kết quả: Bệnh nhân nhi có tuổi trung bình là $8,6 \pm 3,4$. Thể β -thalassemia chiếm đa số (87,2%), phần lớn trẻ được chẩn đoán sau 1 tuổi (80,5%) và có tình trạng thiếu máu nặng phổ biến (73,7%) kèm quá tải sắt rõ rệt (trên 60% Ferritin >1500 ng/ml). Truyền máu giúp cải thiện đáng kể nồng độ Hemoglobin từ $69,1 \pm 13,9$ g/L lên $100,09 \pm 17,52$ g/L ($p < 0,05$) và tương đối an toàn, không ghi nhận biến chứng nặng. Tuy nhiên, mức độ tuân thủ điều trị còn hạn chế, với tỷ lệ tuân thủ truyền máu và thải sắt tĩnh mạch đạt 52,6%, thải sắt đường uống 27,1% và tái khám định kỳ 46,6%, trong khi tuân thủ không đều vẫn ở mức cao (61,7%).

Kết luận: Trong mẫu nghiên cứu, Hb sau truyền cao hơn rõ so với trước truyền, và chưa ghi nhận biến chứng nặng trong thời gian khảo sát, nhưng mức độ tuân thủ điều trị, đặc biệt thải sắt đường uống và tái khám, còn thấp, cần tăng cường quản lý, tư vấn và hỗ trợ gia đình để nâng cao hiệu quả điều trị và chất lượng cuộc sống cho trẻ.

Từ khóa: Kết quả điều trị, bệnh nhân nhi, Thalassemia.

1. ĐẶT VẤN ĐỀ

Thalassemia là bệnh thiếu máu tan máu do đột biến gen lặn trên nhiễm sắc thể thường gây khiếm khuyết trong quá trình tổng hợp hemoglobin – thành phần chính trong hồng cầu, đảm nhiệm chức năng vận chuyển oxy trong máu. Có hai thể bệnh chính là alpha Thalassemia và beta Thalassemia; ngoài ra có các thể phối hợp khác như Thalassemia và bệnh huyết sắc tố. Theo Liên đoàn Thalassemia Quốc tế (TIF), khoảng 7% dân số thế giới mang gen bệnh huyết sắc tố và Thalassemia [1]. Cũng theo các báo cáo toàn cầu của TIF và WHO thì ước tính mỗi năm có khoảng 60.000 – 70.000 trẻ em sinh ra bị các rối loạn huyết sắc tố nặng, trong đó tỷ lệ cao là Beta Thalassemia [1, 2]. Tại Việt Nam, theo báo cáo của Viện huyết học - Truyền máu Trung ương về thì nước ta có hơn 13% dân số mang gen bệnh (khoảng 14 triệu người), với tỷ lệ dân tộc thiểu số chiếm mức độ cao (30-40%).

Bệnh nhân Thalassemia phải chịu đựng các triệu chứng của thiếu máu và quá tải sắt kéo dài, đồng thời giảm năng lượng trong các hoạt động...gây ra ảnh hưởng rõ rệt đến sức khỏe và đời sống của bệnh nhân. Việc điều trị bằng

truyền máu và thải sắt, thường xuyên phải nghỉ học để đi khám - điều trị bệnh cũng gây ra nhiều vấn đề khó khăn trong việc học tập, đời sống sinh hoạt cũng như quan hệ xã hội của trẻ mắc bệnh Thalassemia. Theo nghiên cứu của Keskek (2013) tỷ lệ mắc trầm cảm của nhóm trẻ mắc Thalassemia cao hơn rõ rệt do bị quan, chán nản, cảm thấy mình là gánh nặng của gia đình... [3].

Lào Cai thuộc Tây Bắc Việt Nam, trên địa bàn tỉnh có hơn 30 dân tộc cùng chung sống. Trong đó tỷ lệ dân tộc thiểu số chiếm tới 46%. Năm 2023 Viện Huyết học và Truyền máu trung ương đã thực hiện xét nghiệm bệnh Thalassemia cho 1310 người trên địa bàn tỉnh Lào Cai và phát hiện 439 người bệnh và mang gen bệnh (chiếm 33,5%). Bệnh viện đa khoa tỉnh số 1 tỉnh Lào Cai (Bệnh viện đa khoa tỉnh Yên Bái cũ) là một trong 2 bệnh viện đa khoa lớn nhất trong hệ thống y tế tại tỉnh Lào Cai. Hàng năm khoa Nhi 1 của bệnh viện tiếp nhận khám và điều trị cho hàng trăm lượt trẻ mắc Thalassemia. Xuất phát từ những thực tiễn trên, chúng tôi tiến hành nghiên cứu với mục tiêu mô tả đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng và kết quả điều trị Thalassemia của bệnh nhi từ 2 – 15 tuổi tại khoa Nhi 1 – Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai.

*Tác giả liên hệ

Email: vuphuongxn@gmail.com Điện thoại: (+84) 349648326 DOI: 10.52163/yhc.v67i6.5471

2. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP NGHIÊN CỨU

2.1. Thiết kế nghiên cứu

Nghiên cứu mô tả cắt ngang.

2.2. Địa điểm và thời gian nghiên cứu

Nghiên cứu được thực hiện tại khoa Nhi 1, bệnh viện đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai từ tháng 03/2025 đến tháng 11/2025.

2.3. Đối tượng nghiên cứu

Bệnh nhân được chẩn đoán xác định mắc Thalassemia và đang điều trị tại Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai

- Tiêu chuẩn lựa chọn: Trẻ từ 2-15 tuổi và bố mẹ hoặc người chăm sóc trẻ hiểu được các câu hỏi nghiên cứu và đồng ý tham gia.

- Tiêu chuẩn loại trừ: Bố/mẹ hoặc người chăm sóc có rối loạn nhận thức, thần kinh hoặc sa sút trí tuệ không đủ khả năng giao tiếp.

2.4. Cỡ mẫu, chọn mẫu

Nghiên cứu sử dụng phương pháp chọn mẫu thuận tiện, chọn tất cả 133 bệnh nhân Thalassemia (đáp ứng tiêu chí nghiên cứu) điều trị tại Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai từ tháng 3/2025 đến tháng 11/2025.

2.5. Biến số, chỉ số, nội dung, chủ đề nghiên cứu

Biến số thông tin về đặc điểm xã hội học của đối tượng nghiên cứu gồm: tuổi, giới, dân tộc, hoàn cảnh gia đình, khoảng cách đến bệnh viện...

Biến số thông tin về đặc điểm bệnh lý: thể bệnh, triệu chứng thiếu máu, tuổi phát bệnh, tuổi bắt đầu truyền máu, tần suất truyền máu/ năm, thời gian điều trị thải sắt, nồng độ Hemoglobin, nồng độ Ferritin huyết thanh (ng/ml).

Biến số thông tin về kết quả điều trị: biến chứng truyền máu, biến chứng liên quan thải sắt, phản ứng thuốc khác.

Biến số thông tin về tuân thủ điều trị: tuân thủ truyền máu định kỳ, tuân thủ điều trị thải sắt đường uống, tuân thủ điều trị thải sắt đường tĩnh mạch, tuân thủ tái khám định kỳ.

2.6. Kỹ thuật, công cụ và quy trình thu thập số liệu

Điều tra viên được tập huấn kỹ về bộ công cụ. Thông tin được thu thập bằng phương pháp ghi chép từ hồ sơ bệnh án kết hợp phỏng vấn đối tượng nghiên cứu theo bộ công cụ thiết kế sẵn.

2.7. Xử lý và phân tích số liệu

Các số liệu nghiên cứu được xử lý theo phương pháp thống kê y học trên phần mềm SPSS.20. Các biến số định tính được báo cáo bằng tần số, tỷ lệ và các biến định lượng được báo cáo bằng trung bình, độ lệch chuẩn. Sử dụng test t-student so sánh kết quả giữa các biến định lượng, Chi-square/Fisher cho biến định tính, paired t-test hoặc Wilcoxon cho Hb trước-sau nếu là cùng bệnh nhân, cách xử lý phân phối lệch với ferritin, sự khác biệt giữa các so sánh được coi là có ý nghĩa thống kê với $p < 0,05$.

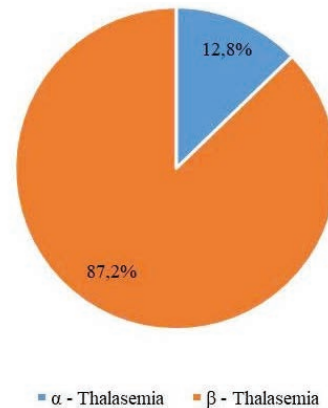
2.8. Đạo đức nghiên cứu

Nghiên cứu được sự chấp thuận của Hội đồng Khoa học Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai và Ban lãnh đạo bệnh viện. Mọi thông tin thu thập chỉ phục vụ mục đích nghiên cứu

và toàn bộ quá trình thực hiện đều tuân thủ nghiêm ngặt các nguyên tắc đạo đức trong nghiên cứu y sinh học tại Việt Nam.

3. KẾT QUẢ NGHIÊN CỨU

Trong thời gian từ tháng 3/2025 đến tháng 11/2025 chúng tôi đã nghiên cứu, mô tả đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng và kết quả điều trị điều trị của 133 bệnh nhi mắc Thalassemia điều trị tại khoa Nhi 1, Bệnh viện đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai. Kết quả nghiên cứu cho thấy 133 trẻ tham gia nghiên cứu có độ tuổi từ 2 – 15 tuổi (Tuổi trung bình: $8,6 \pm 3,4$ tuổi). Nhóm tuổi chủ yếu là 8 –12 tuổi (39,1%). Tỷ lệ nam/nữ của nhóm đối tượng nghiên cứu: 1,46/1. Trẻ thuộc dân tộc Tày và dân tộc Dao chiếm tới 82,7%. Hơn nửa số trẻ tham gia nghiên cứu thuộc hộ cận nghèo (51,13%) và 94% số trẻ tham gia nghiên cứu sống cách bệnh viện trên 20 km.



Hình 1. Thể bệnh Thalassemia (n=133)

Trong 133 trẻ tham gia nghiên cứu có 116 trẻ mắc β - thalassemia (87,2%) và 17 trẻ mắc α - thalassemia (12,8%).

Bảng 1. Đặc điểm lâm sàng của nhóm nghiên cứu (n=133)

Đặc điểm		Số lượng (n)	Tỷ lệ (%)
Triệu chứng thiếu máu	Không có triệu chứng rõ ràng	9	6,8
	Da xanh, niêm mạc nhợt	123	92,5
	Mệt mỏi, kém ăn, chậm tăng cân	118	88,7
	Khó thở khi gắng sức	115	86,5
	Tím tái, hồi hộp, đánh trống ngực	4	3
Tuổi phát bệnh	Trước 1 tuổi	26	19,5
	Sau 1 tuổi	107	80,5
Tuổi bắt đầu truyền máu	≤ 2 tuổi	97	72,9
	> 2 tuổi	36	27,1
Tần suất truyền máu/ năm	≤ 6 lần /năm	37	27,8
	6-12 lần/năm	59	44,4
	≥ 12 lần/năm	37	27,8
Thời gian điều trị thải sắt	≤ 2 năm	17	12,8
	2 - 5 năm	36	27,1
	5-10 năm	45	33,8
	≥ 10 năm	35	26,3

Các triệu chứng thường gặp của thiếu máu như da xanh, niêm mạc nhợt, mệt mỏi, kém ăn, chậm tăng cân, khó thở khi gắng sức gặp ở hầu hết các trẻ (với tỷ lệ từ 86,5% đến 92,5%). 80,5% số trẻ tham gia nghiên cứu được chẩn đoán bệnh sau 1 tuổi. 72,9% trẻ bắt đầu truyền máu trước

2 tuổi, trên 70% số trẻ phải truyền máu trên 6 lần trong 1 năm. Tất cả số trẻ tham gia nghiên cứu đều phải truyền thải sắt, trong đó số trẻ thải sắt trên 5 năm khoảng 60%, từ 2 đến 5 năm chiếm 27,07%.

Bảng 2. Đặc điểm cận lâm sàng của nhóm nghiên cứu (n=133)

Đặc điểm		Số lượng (n)	Tỷ lệ (%)
Phân loại thiếu máu	Thiếu máu trung bình	35	26,3
	Thiếu máu nặng	98	73,7
	TB ± SD (min - max)	69,1±13,9 g/L (30–94)	
Nồng độ Ferritin huyết thanh (ng/ml)	< 300 ng/ml	9	6,8
	301- 500 ng/ml	7	5,3
	500-1000 ng/ml	19	14,3
	1000- 1500 ng/ml	16	12,0
	> 1500 ng/ml	82	61,7
	TB ± SD (min - max)	1187,5±487,2 ng/mL (89–1500)	

Tất cả trẻ trong nghiên cứu đều có thiếu máu, 73,7% ở mức độ nặng với Hb trước truyền máu nhỏ hơn 70 g/L. Thậm chí có 2 trường hợp thiếu máu rất nặng với Hb trước truyền máu là 30 và 32,7 g/L. Về nồng độ Ferritin, hơn 60% bệnh nhân có Ferritin >1500 ng/ml, cho thấy tình trạng quá tải sắt rõ rệt. Chỉ có khoảng 7% nằm ở mức thấp <300 ng/ml.

Bảng 3. Thay đổi nồng độ Hemoglobin trước và sau truyền máu (n=133)

Hb (g/L)	Trước truyền máu		Sau truyền máu		P
	Số lượng (n)	Tỷ lệ (%)	Số lượng (n)	Tỷ lệ (%)	
≥ 110 g/L	0	0	39	29,3	<0,05
100 – 109 g/L	0	0	30	22,6	<0,05
70 – 99 g/L	35	26,3	59	44,3	<0,05
< 70 g/L	98	73,7	5	3,8	<0,05
X ± SD	69,1±13,9 g/L		100,09 ± 17,52 g/L		

Sau truyền máu, phân bố nồng độ Hemoglobin của trẻ cải thiện rõ rệt so với trước truyền. Trước truyền máu, đa số trẻ nằm trong nhóm thiếu máu nặng (98 trẻ) và thiếu máu trung bình (35 trẻ). Sau truyền máu, giá trị Hb trung bình tăng đáng kể từ 69,1 ± 13,9 g/L lên 100,09 ± 17,52 g/L. Sự cải thiện này cho thấy hiệu quả rõ rệt và có ý nghĩa thống kê (p < 0,05).

Bảng 4. Đặc điểm biến chứng của nhóm nghiên cứu (n=133)

Đặc điểm		Số lượng (n)	Tỷ lệ (%)
Biến chứng truyền máu	Kháng thể bất thường	3	2,3
	Sốc phản vệ, sốt sau truyền máu	0	0
	Hạ Calci sau truyền máu	1	0,8
Biến chứng liên quan thải sắt	Tăng men gan	76	57,1
	Rối loạn điện giải	3	2,3
Phản ứng thuốc khác	Mê đay, dị ứng	0	0

Trong nghiên cứu, chỉ 3 trẻ ghi nhận biến chứng nhẹ như kháng thể bất thường sau truyền máu và rối loạn điện giải nhẹ (2,3%), trong khi 76 trẻ tăng men gan (57,1%); không ghi nhận các biến chứng nặng như sốc phản vệ, sốt hay

chảy máu sau truyền máu, và tất cả các biến chứng đều chưa ảnh hưởng nghiêm trọng đến sức khỏe trẻ.

Bảng 5. Đặc điểm tuân thủ điều trị của nhóm nghiên cứu

Đặc điểm		Số lượng (n)	Tỷ lệ (%)
Tuân thủ truyền máu định kỳ	Tuân thủ đầy đủ theo lịch hẹn (Không trễ hẹn > 7 ngày)	70	52,6
	Truyền máu không đều (Thường trễ hẹn > 7 ngày)	60	45,1
	Không tuân thủ (Bỏ truyền > 1 lần/tháng hoặc bỏ hẳn)	3	2,3
Tuân thủ điều trị thải sắt đường uống	Duy trì đều đặn hàng ngày theo lịch	36	27,1
	Sử dụng không đều (Bỏ thuốc < 2 ngày/tuần)	82	61,7
	Không sử dụng thuốc hoặc bỏ thuốc thường xuyên	15	11,3
Tuân thủ điều trị thải sắt đường tĩnh mạch	Tuân thủ đầy đủ	70	52,6
	Tuân thủ không đều	60	45,1
	Không tuân thủ	3	2,3
Tuân thủ tái khám định kỳ	Khám đầy đủ theo lịch	62	46,6
	Tái khám không đều	61	45,9
	Không tuân thủ tái khám	10	7,5

Tỷ lệ tuân thủ truyền máu định kỳ, thải sắt uống, thải sắt tĩnh mạch và tái khám lần lượt là 52,6%, 27,1%, 52,6% và 46,6%, trong đó tuân thủ không đều còn cao (61,7% uống thuốc thải sắt không đều), tỷ lệ không tuân thủ hoàn toàn chiếm tỷ lệ thấp (2,3 – 7,5%).

4. BÀN LUẬN

Trong 133 trẻ tham gia nghiên cứu, 87,2% trẻ có kết quả điện di cho thấy mắc β – thalassemia. Thể α - thalassemia có số lượng ít hơn nhiều với 12,8%. Kết quả của chúng tôi tương đồng với nghiên cứu của Trần Thị Ngọc Hòa (2017) trong đó thể β – thalassemia chiếm tỷ lệ chủ yếu (58,2%) trong nhóm bệnh nhân có chỉ định truyền máu định kỳ [4]. Kết quả này có liên quan đến đặc điểm cơ chế bệnh sinh: đột biến gen β-globin thường gây thiếu máu nặng và tiến triển sớm, dẫn đến nhu cầu truyền máu định kỳ cao hơn và được phát hiện, điều trị tại bệnh viện nhiều hơn. Ngược lại, thể α – thalassemia thường có biểu hiện lâm sàng nhẹ hơn, dễ bị bỏ sót hoặc ít phải điều trị tại cơ sở y tế. Vì vậy, việc ghi nhận tỷ lệ β – thalassemia cao hơn trong nghiên cứu này là phù hợp về cơ sở về mặt dịch tễ và lâm sàng.

Các triệu chứng thiếu máu thường gặp nhất ở trẻ Thalassemia là da xanh, niêm mạc nhợt (92,5%), mệt mỏi, kém ăn và chậm tăng cân (88,7%), và khó thở khi gắng sức (86,5%). Điều này phù hợp với nghiên cứu của Nguyễn Thị Thu Hiền (2019) tại Viện Huyết học – Truyền máu Trung Ương, trong đó trên 90% bệnh nhi Thalassemia có biểu hiện da xanh, niêm mạc nhợt và suy dinh dưỡng kéo dài do tình trạng thiếu máu mạn tính và tan máu liên tục kéo dài [5]. Chỉ có 6,8% trẻ trong nghiên cứu không có triệu chứng rõ ràng, và 3,01% có biểu hiện nặng hơn như tím tái, hồi hộp, đánh trống ngực, phản ánh đúng đặc điểm bệnh diễn tiến âm thầm và chỉ nặng lên khi thiếu máu kéo dài không được điều trị đầy đủ. Về tuổi khởi phát, nghiên cứu của chúng tôi ghi nhận 19,5% trẻ khởi phát trước 1 tuổi và 80,5% được chẩn đoán sau 1 tuổi. Tỷ lệ này tương tự với nghiên cứu

của Hồ Thị Thu Hà (2020) tại Bệnh viện Nhi Trung Ương, cho thấy khoảng 70 – 85% trẻ Thalassaemia thể phụ thuộc truyền máu chỉ được phát hiện sau 12 tháng tuổi, thường khi trẻ bắt đầu biểu hiện chậm phát triển thể chất rõ rệt [6]. Trong nghiên cứu của chúng tôi, 72,9% trẻ bắt đầu truyền máu trước 2 tuổi và tất cả trẻ đều phải truyền máu định kỳ. Tần suất truyền máu trung bình trong nghiên cứu chủ yếu là ≥ 6 lần/năm, trong đó 27,8% trẻ cần truyền ≥ 12 lần/năm. Điều này cũng phù hợp với hướng dẫn quốc tế, khuyến cáo duy trì Hb trước truyền từ 90 – 105 g/L để đảm bảo phát triển bình thường của trẻ. Về điều trị thải sắt, toàn bộ trẻ trong nghiên cứu đều được điều trị, với 60,2% có thời gian thải sắt trên 5 năm. Điều này cũng phù hợp với thực tế được ghi nhận trong nghiên cứu của Nguyễn Thị Bích Ngọc (2021) tại Bệnh viện Truyền máu – Huyết học TP.HCM, nhấn mạnh rằng tích lũy sắt là biến chứng gần như không thể tránh khỏi ở bệnh nhân truyền máu kéo dài, do đó điều trị thải sắt là bắt buộc và cần được duy trì liên tục [7].

Các biến chứng sau truyền máu ở trẻ Thalassaemia được ghi nhận ở mức thấp và chủ yếu nhẹ. Trong tổng số trẻ tham gia, chỉ có 3 trẻ (2,3%) xuất hiện kháng thể bất thường, phản ánh nguy cơ phát sinh kháng thể do truyền máu nhiều lần. Một trường hợp hạ canxi huyết được ghi nhận, nhưng mức giảm rất nhỏ (2,18 mmol/L so với bình thường 2,2 mmol/L), không gây nguy hiểm, phù hợp với các nghiên cứu cho thấy hạ canxi huyết sau truyền máu hiếm khi diễn biến nặng nếu theo dõi và bổ sung điện giải kịp thời. Không có trường hợp nào gặp biến chứng sốc phản vệ hay chảy máu, chứng tỏ quy trình truyền máu tại khoa Nhi 1 - BVĐK số 1 tỉnh Lào Cai đảm bảo an toàn. Về men gan, hơn một nửa số trẻ (57,1%) có AST, ALT tăng, chủ yếu liên quan đến tình trạng quá tải sắt do truyền máu kéo dài và quá trình điều trị thải sắt. Kết quả này tương tự nghiên cứu của Hengameh Khadivi Heris và cộng sự cho thấy tăng ALT, AST liên quan với mức độ quá tải sắt và lắng đọng gan [8]. Ngoài ra, 3 trẻ xuất hiện rối loạn điện giải, gồm 1 trường hợp K⁺ 3,4 mmol/L và 2 trường hợp Cl⁻ 107,3 mmol/L, tất cả đều ở mức nhẹ, chưa ảnh hưởng nghiêm trọng đến sức khỏe. Nhìn chung, các biến chứng điều trị trong nghiên cứu chủ yếu nhẹ, không gây nguy hiểm và có thể kiểm soát được bằng theo dõi thường xuyên. Kết quả này khẳng định tính an toàn của chương trình truyền máu định kỳ tại Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai và nhấn mạnh tầm quan trọng của việc giám sát các chỉ số xét nghiệm cận lâm sàng trong quá trình điều trị dài hạn.

Tỷ lệ tuân thủ truyền máu định kỳ và tuân thủ điều trị thải sắt đường tĩnh mạch cùng đạt mức 52,6%. Tỷ lệ tuân thủ điều trị thải sắt đường uống đạt 27,1%, trong khi tuân thủ tái khám định kỳ ghi nhận 46,6%. Tuy nhiên, tỷ lệ tuân thủ điều trị không đều vẫn còn cao, đặc biệt là trong sử dụng thuốc thải sắt đường uống, với 61,7% trẻ uống thuốc không đều. Tỷ lệ không tuân thủ hoàn toàn các biện pháp điều trị chỉ chiếm từ 2,3% đến 7,5%, chiếm tỷ lệ nhỏ. Kết quả này phản ánh một thực tế quan trọng điều trị thải sắt đường uống phụ thuộc nhiều vào tính chủ động và mức độ hợp tác của trẻ và gia đình, do thuốc thường phải dùng hàng ngày và kéo dài nhiều năm. Điều này giải thích tại sao tuân thủ đường uống thấp hơn so với thải sắt tĩnh mạch, vốn thường được thực hiện khi trẻ nhập viện truyền máu và được nhân viên y tế hỗ trợ trực tiếp. Một số nghiên cứu trong nước cho thấy tuân thủ điều trị thải sắt đường uống thường không cao, do yếu tố mùi vị thuốc khó uống, tác dụng phụ đường tiêu hóa, thời gian điều trị kéo dài và gánh nặng kinh tế như

trong nghiên cứu của Ngô Diễm Phương và cộng sự (2020) trên trẻ thalassaemia tại Bệnh viện Nhi Đồng ghi nhận tỷ lệ tuân thủ điều trị thải sắt thấp là vấn đề nổi bật, đặc biệt ở nhóm bệnh nhân sống xa bệnh viện và có hoàn cảnh kinh tế khó khăn. Điều này tương đồng với mẫu nghiên cứu của chúng tôi trong đó 51,13% trẻ thuộc hộ cận nghèo và 94% sống cách bệnh viện trên 20 km, cho thấy yếu tố kinh tế – địa lý đóng vai trò quan trọng trong tuân thủ điều trị [9]. Nguyên nhân không tuân thủ điều trị chủ yếu do tác dụng phụ và cách dùng thuốc thải sắt kéo dài, gánh nặng chi phí và khoảng cách địa lý xa bệnh viện, hạn chế hiểu biết và hợp tác của gia đình, cùng các yếu tố văn hóa – xã hội làm giảm khả năng tiếp cận thông tin và dịch vụ y tế.

5. KẾT LUẬN

Nghiên cứu trên 133 bệnh nhi Thalassaemia từ 2–15 tuổi (tuổi trung bình $8,6 \pm 3,4$) điều trị tại khoa Nhi 1, Bệnh viện Đa khoa số 1 tỉnh Lào Cai cho thấy β -thalassaemia chiếm đa số (87,2%), phần lớn trẻ được chẩn đoán sau 1 tuổi (80,5%) và có tình trạng thiếu máu nặng phổ biến (73,7%) kèm quá tải sắt rõ rệt (trên 60% Ferritin >1500 ng/ml). Truyền máu giúp cải thiện đáng kể nồng độ Hemoglobin từ $69,1 \pm 13,9$ g/L lên $100,09 \pm 17,52$ g/L ($p < 0,05$) và tương đối an toàn, chưa ghi nhận biến chứng nặng. Tuy nhiên, mức độ tuân thủ điều trị còn hạn chế, với tỷ lệ tuân thủ truyền máu và thải sắt tĩnh mạch đạt 52,6%, thải sắt đường uống 27,1% và tái khám định kỳ 46,6%, trong khi tuân thủ không đều vẫn ở mức cao (61,7%), cho thấy cần tăng cường các biện pháp quản lý và hỗ trợ lâu dài cho bệnh nhi Thalassaemia.

6. TÀI LIỆU THAM KHẢO

- [1] Thalassaemia International Federation (TIF). Monitoring and Managing Iron Overload in Thalassaemia. TIF Clinical Series. 2021.
- [2] World Health Organization. Genes and human disease. Available from: <https://www.who.int/genomics/public/geneticdiseases>.
- [3] Keskek, S.O., et al., Depression in subjects with beta-thalassaemia minor. Ann Hematol, 2013. 92(12): p. 1611-5.
- [4] Trần Thị Ngọc Hòa., Đánh giá chất lượng sống liên quan đến sức khỏe của bệnh nhân Thalassaemia tại Bệnh viện Trẻ em Hải Phòng. Tạp chí Nhi khoa, 2017.
- [5] Nguyễn Thị Thu Hiền., Đặc điểm lâm sàng và điều trị Thalassaemia ở trẻ em tại Viện Huyết học – Truyền máu Trung ương. 2019.
- [6] Hồ Thị Thu Hà., Đặc điểm bệnh nhi Thalassaemia điều trị tại Bệnh viện Nhi Trung ương. Tạp chí Y học Việt Nam, 2020: p. 45-52.
- [7] Nguyễn Thị Bích Ngọc., Đánh giá hiệu quả điều trị thải sắt ở bệnh nhân Thalassaemia tại Bệnh viện Truyền máu – Huyết học TP.HCM. Bệnh viện Truyền máu – Huyết học TP.HCM, 2021.
- [8] Khadivi Heris, H., et al., Evaluation of iron overload by cardiac and liver T2* in beta-thalassaemia: Correlation with serum ferritin, heart function and liver enzymes. J Cardiovasc Thorac Res, 2021. 13(1): p. 54-60.
- [9] Ngô Diễm Phương., Tuân thủ điều trị thải sắt ở trẻ thalassaemia tại Bệnh viện Nhi Đồng: Thách thức và giải pháp. Tạp chí Huyết học Việt Nam, 2020. 12(3): p. 45-53.