

ĐẶC ĐIỂM LÂM SÀNG VÀ KẾT QUẢ ĐIỀU TRỊ SARCOMA CƠ VÂN KHÔNG DI CĂN TẠI BỆNH VIỆN K

Hoàng Thu Trang¹, Nguyễn Đình Lê^{1,2}, Trần Hải Nam¹
Hoàng Thị Thùy Linh¹, Nguyễn Minh Phương¹, Đỗ Hùng Kiên¹
và Đỗ Cẩm Thanh^{1,2,✉}

¹Bệnh viện K

²Trường Đại học Y Hà Nội

Sarcoma cơ vân là bệnh lý hay gặp nhất trong nhóm bệnh ung thư phần mềm ở trẻ em. Bài báo nhận xét đặc điểm lâm sàng và kết quả điều trị 36 trẻ mắc sarcoma cơ vân không di căn xa từ 2021 - 2024 tại Khoa Nội Nhi, Bệnh viện K. Tuổi mắc bệnh trong nghiên cứu là 10,6 tuổi (dao động 5,3 - 14,6 tuổi); nam chiếm 66,7%. Vị trí u hay gặp nhất là đầu mặt cổ (41,7%) và cạnh màng não (19,4%). Nghiên cứu có 36,1% trẻ có đột biến FOXO1; 44,4% có di căn hạch vùng và nhóm nguy cơ cao-rất cao chiếm 66,6%. 17 trẻ (47,2%) được phẫu thuật trước với 9/17 trẻ lấy được u toàn bộ; 84,2% trẻ đáp ứng tốt với 3 đợt hoá chất đầu tiên. Kết thúc nghiên cứu, tỷ lệ sống và sống không bệnh sau 4 năm lần lượt là 64,9% và 32,9%. Không có khác biệt có ý nghĩa thống kê về tỷ lệ sống với các đặc điểm khối u và nhóm nguy cơ trước điều trị. Điều trị đa mô thức theo nhóm nguy cơ đem lại kết quả đáng kể cho bệnh nhân mắc sarcoma không di căn xa tuy nhiên cần có các biện pháp chẩn đoán sớm và tiếp cận khối u lớn với sinh thiết và hoá trị trước mổ.

Từ khoá: Sarcoma cơ vân không di căn, sarcoma cơ vân, Bệnh viện K.

I. ĐẶT VẤN ĐỀ

Sarcoma cơ vân (Rabdomyosarcoma - RMS) là bệnh lý hiếm nhưng là một ung thư phần mềm hay gặp nhất ở trẻ em với biểu hiện đa dạng về lâm sàng.^{1,2} Xét nghiệm sinh học phân tử với tìm ra FOXO1 kết hợp đặc điểm và vị trí khối u, tuổi bệnh nhân, mức độ lan rộng bệnh giúp phân loại bệnh thành các nhóm nguy cơ thấp, trung bình, cao và rất cao.^{1,3} Điều trị đa mô thức linh hoạt theo nhóm nguy cơ với hoá chất, phẫu thuật và xạ trị giúp nâng tỷ lệ sống của bệnh nhân không có di căn xa gần 80% qua các nghiên cứu.^{2,4} Tại Bệnh viện K, một trong những trung tâm ung thư lớn nhất Việt Nam, sarcoma chiếm tỷ lệ 15,5% các khối u đặc trẻ em.⁵ Tại Việt Nam, các dữ liệu về kết

quả điều trị nhóm bệnh lý này còn hạn chế. Nghiên cứu của chúng tôi tập trung mô tả đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng và kết quả điều trị loạt ca bệnh hiếm sarcoma cơ vân không di căn xa ở trẻ em tại khoa Nội Nhi, Bệnh viện K từ năm 2021 - 2024.

II. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP

1. Đối tượng

36 trẻ dưới 18 tuổi được chẩn đoán xác định mắc sarcoma cơ vân không có di căn xa với kết quả giải phẫu bệnh theo tiêu chuẩn WHO 2020 tại Khoa Nội Nhi, Bệnh viện K trong khoảng thời gian từ 01/01/2021 đến hết 31/12/2024.

2. Phương pháp

Thiết kế nghiên cứu

Quan sát, mô tả chùm bệnh hiếm với nghiên cứu hồi cứu giai đoạn 01/2021 - 04/2024 và tiến cứu từ 05/2024 - 09/2025.

Tác giả liên hệ: Đỗ Cẩm Thanh

Trường Đại học Y Hà Nội

Email: docamthanh@hmu.edu.vn

Ngày nhận: 21/10/2025

Ngày được chấp nhận: 19/11/2025

Phác đồ chẩn đoán và điều trị được trình bày trong Bảng 1 và Bảng 2. Các trường hợp không đủ dữ liệu đánh giá sẽ được loại trừ khỏi nghiên cứu (Sơ đồ 1).

Bảng 1. Nhóm bệnh nhân trước điều trị

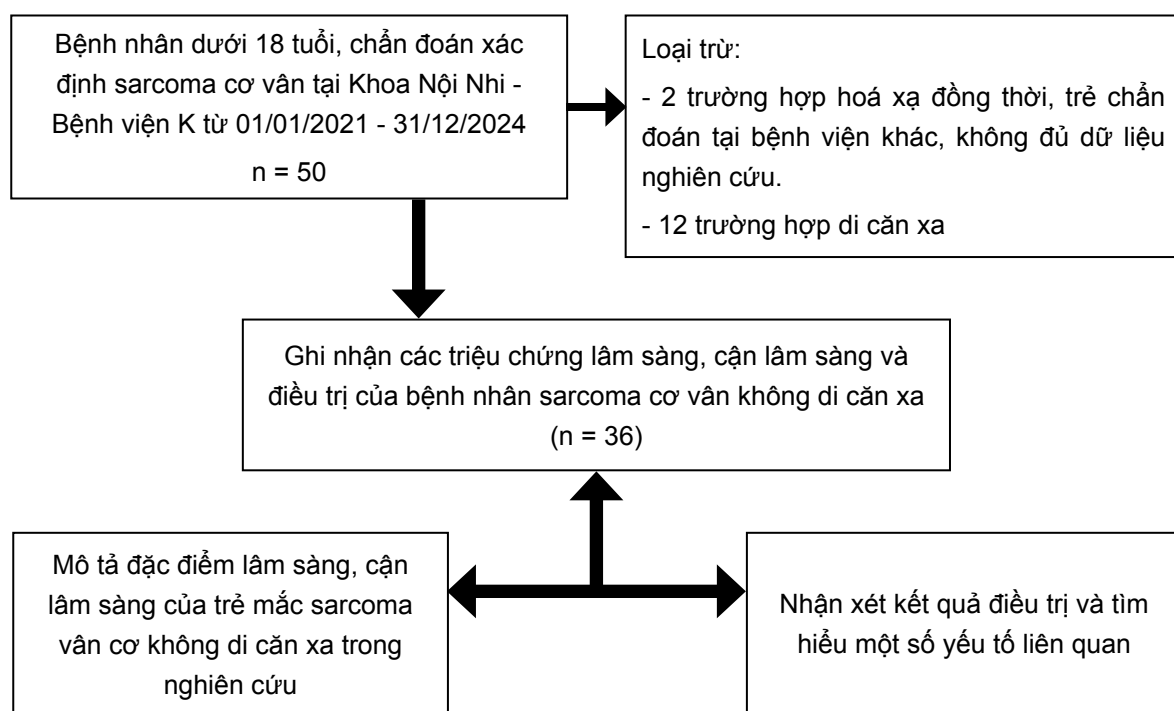
Nhóm nguy cơ	Dưới nhóm	FOXO1	IRS	Vị trí u	Hạch vùng	Tuổi và kích thước u
Nguy cơ thấp	A	Âm tính	I	Bất kì	N0	Thuận lợi
Nguy cơ trung bình	B	Âm tính	I	Bất kì	N0	Không thuận lợi
	C	Âm tính	II, III	Thuận lợi	N0	Bất kì
Nguy cơ cao	D	Âm tính	II, III	Không thuận lợi	N0	Thuận lợi
	E	Âm tính	II, III	Không thuận lợi	N0	Không thuận lợi
	F	Âm tính	II, III	Bất kì	N1	Bất kì
	G	Dương tính	I, II, III	Bất kì	N0	Bất kì
Nguy cơ rất cao	H	Dương tính	I, II, III	Bất kì	N1	Bất kì

Bảng 2. Phác đồ điều trị

Nhóm B	IVA x 4 chu kì + VA 5 chu kì
Nhóm C	IVA x 4 chu kì + 4 chu kì IVA không xạ hoặc + 2 chu kì IVA + 4 chu kì VA có xạ
Nhóm D, E, F, G	IVA x 4 chu kì + Phẫu thuật + Xạ trị đồng thời với IVA 5 chu kì + điều trị duy trì Vinorelbin và Endoxan 6 tháng
Nhóm H	IVADo x 4 chu kì + phẫu thuật + Xạ trị đồng thời với IVA 5 chu kì + điều trị duy trì Vinorelbin và Endoxan 6 tháng- 1 năm.
Hoá chất cụ thể	
IVA	Ifosfamide 3g/m ² N1-2 Actinomycin-D 1,5 mg/m ² N1 Vincristin 1,5mg/m ² N1 (tối đa 2mg)
VA	Vincristin 1,5mg/m ² N1 (tối đa 2mg) Actinomycin-D 1,5 mg/m ² N1
IVADo	Ifosfamide 3g/m ² N1-2 Vincristin 1,5mg/m ² N1 (tối đa 2mg) Actinomycin-D 1,5 mg/m ² N1 Doxorubicin 30mg/m ² N1-2
Khi hoá xạ trị đồng thời sẽ không sử dụng Actinomycin-D và Doxorubicin.	

Tiêu chuẩn áp dụng: Đáp ứng bệnh dựa trên chẩn đoán hình ảnh (dựa vào kết quả CT scan hoặc MRI tổn thương). Bệnh đáp ứng hoàn toàn khi các tổn thương không còn tồn tại trên phim chụp. Bệnh có đáp ứng khi thể tích khối u giảm $\geq 33\%$; Bệnh tiến triển khi thể tích khối u tăng hơn 40% hoặc có xuất hiện tổn thương mới. Bệnh ổn định khi không có biểu hiện của bệnh tiến triển hoặc/và đáp ứng dưới 33%. Bệnh tồn dư khi còn tổn thương trên phim chụp. Kích thước khối u được coi là đường kính lớn nhất đo được trên chẩn đoán hình ảnh.¹ Thời gian chờ chẩn đoán được tính từ khi có triệu chứng ban đầu

cho tới khi trẻ có kết quả giải phẫu bệnh. Thời gian chờ điều trị được tính từ khi trẻ có kết quả giải phẫu bệnh đến khi trẻ nhận được điều trị đầu tiên: hoá chất hoặc phẫu thuật. Tỷ lệ sống (Overall Survival rate - OS) được tính từ ngày trẻ bắt đầu điều trị đến thời điểm tử vong hoặc đến ngày cuối cùng có thể liên lạc. Tỷ lệ sống không bệnh (Event Free Survival rate - EFS) được tính từ ngày trẻ bắt đầu điều trị đến ngày có sự kiện đầu tiên (tử vong, tái phát, ung thư thứ phát, bỏ điều trị, biến chứng muộn) hoặc ngày cuối cùng có thể liên lạc.



Sơ đồ 1. Sơ đồ nghiên cứu

Phân tích: Dữ liệu được phân tích bởi phần mềm SPSS 20.0 với các thuật toán thống kê: tính trung bình, độ lệch, test Chi-square so sánh hai biến định tính hoặc giữa hai tỷ lệ. Tỷ lệ sống và tỷ lệ sống không bệnh được ước tính bằng phương pháp Kaplan-Meier. Mức ý nghĩa được xác định khi $p < 0,05$.

3. Đạo đức nghiên cứu

Đây là nghiên cứu quan sát mô tả, không

gây ảnh hưởng đến sức khỏe và tính mạng bệnh nhân. Nghiên cứu là đề tài cơ sở tại Bệnh viện K đã được phê duyệt theo QĐ số 1582/QĐ-BVK ngày 26/4/2024. Nghiên cứu này chỉ nhằm mục đích nâng cao hiệu quả khám chữa bệnh, ngoài ra không có mục đích nào khác. Các số liệu trong nghiên cứu trung thực, chính xác. Thông tin của bệnh nhân được mã hoá và đảm bảo bí mật trong nghiên cứu.

III. KẾT QUẢ

1. Đặc điểm chung của bệnh nhân trong nghiên cứu

Bảng 3. Đặc điểm chung

Đặc điểm nhóm nghiên cứu (n = 36)	n	%
Giới tính		
Nam	24	66,7
Nữ	12	33,3
Nhóm tuổi		
Dưới 10 tuổi	18	50
Trên 10 tuổi	18	50
Tuổi (trung vị)	10,6 tuổi	
Khoảng tứ phân vị (tuổi)	5,3 - 14,6	
Thời gian chờ chẩn đoán (trung vị-tháng)	1,85	
Khoảng tứ phân vị (tháng)	(0,98 - 4,35)	
Thời gian chờ điều trị (trung vị- ngày)	15	
Khoảng tứ phân vị (ngày)	(8,5 - 31,7)	
Thời gian theo dõi bệnh nhân (tháng)	19,4 tháng	
Khoảng tứ phân vị (tháng)	(9,4 - 34,4 tháng)	

Tuổi mắc bệnh trong nghiên cứu có trung vị 10,6 tuổi với 50% trẻ trên 10 tuổi, trong đó 66,7% là nam giới.

2. Đặc điểm lâm sàng của bệnh nhân trong nghiên cứu

Bảng 4. Đặc điểm lâm sàng

Đặc điểm nhóm nghiên cứu (n = 36)	n	%
Giải phẫu bệnh		
Thể phôi	16	44,4
Thể nang	16	44,4
Thể chùm nho	2	5,6
Thể tế bào hình thoi	2	5,6
Gen FOXO1		
Âm tính	23	63,9
Dương tính	13	36,1

Đặc điểm nhóm nghiên cứu (n = 36)	n	%
Vị trí khối u		
Tiết niệu sinh dục	4	11,1
Chi	4	11,1
Thân mình	1	2,8
Đầu mặt cổ	15	41,7
Cạnh màng não	7	19,4
Khác	5	13,9
Nhóm IRS		
I	2	5,6
II	7	19,4
III	27	75,0
Hạch vùng		
Dương tính	16	44,4
Âm tính	20	55,6
Kích thước khối u		
≤ 5cm	14	38,9
> 5cm	22	61,1
Phân nhóm điều trị		
Nhóm nguy cơ trung bình	12	33,3
Nhóm nguy cơ cao	16	44,4
Nguy cơ rất cao	8	22,2
Phác đồ điều trị		
Hoá chất + Xạ trị	19	52,8
Hoá chất + Phẫu thuật	5	13,9
Hoá chất + Xạ trị + Phẫu thuật	12	33,3

Trong nghiên cứu, vị trí khối u hay gặp nhất là đầu mặt cổ (41,7%) và cạnh màng não (19,4%). Nghiên cứu có 36,1% đột biến gen FOXO1, hạch vùng di căn 44,4% trường hợp và chủ yếu gặp nhóm nguy cơ cao và rất cao

với 66,6% ca bệnh. 86,1% các ca bệnh có chỉ định xạ trị.

3. Đặc điểm khối u và phương pháp chẩn đoán bệnh

Bảng 5. Đặc điểm khối u và phương pháp chẩn đoán bệnh

	Phẫu thuật n (%)	Sinh thiết kim n (%)	p
Khối u dưới 5cm	7 (41,2)	7 (36,8)	0,53
Khối u trên 5cm	10 (58,8)	12 (63,2)	
Không tồn dư đại thể	9 (52,9)	0	< 0,001
Còn tồn dư đại thể	8 (47,1)	19 (100)	
Tổng	17 (100)	19 (100)	

Trong nghiên cứu, có 17/36 trẻ được phẫu thuật trước (47,2%) nhưng chỉ 52,9% sau mổ không còn tồn thương tồn dư trên chẩn đoán hình ảnh.

4. Kết quả điều trị

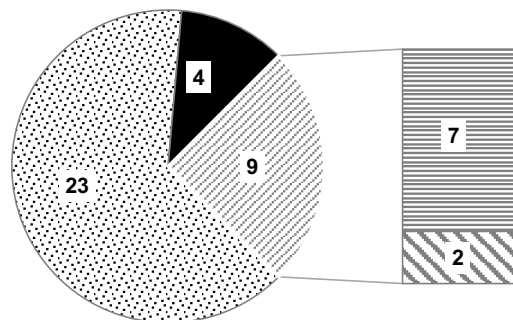
Đáp ứng sau 3 đợt hoá chất đầu tiên

Bảng 6. Đáp ứng sau 3 đợt hoá chất ban đầu

	Tổng n (%)	Phẫu thuật trước n (%)	Sinh thiết trước n (%)	p
Đáp ứng hoàn toàn	14 (38,9)	11 (64,7)	3 (15,8)	0,018
Đáp ứng một phần	19 (52,8)	6 (35,3)	13 (68,4)	
Bệnh ổn định	2 (5,5)	0	2 (10,5)	
Bệnh tiến triển	1 (2,8)	0	1 (5,3)	
Tổng	36 (100)	17 (100)	19 (100)	

Sau 3 đợt hoá chất, các ca sinh thiết trước có 84,2% trẻ có đáp ứng trong khi 35,3% trẻ dù có gắng phẫu thuật từ đầu vẫn không đạt được đáp ứng hoàn toàn.

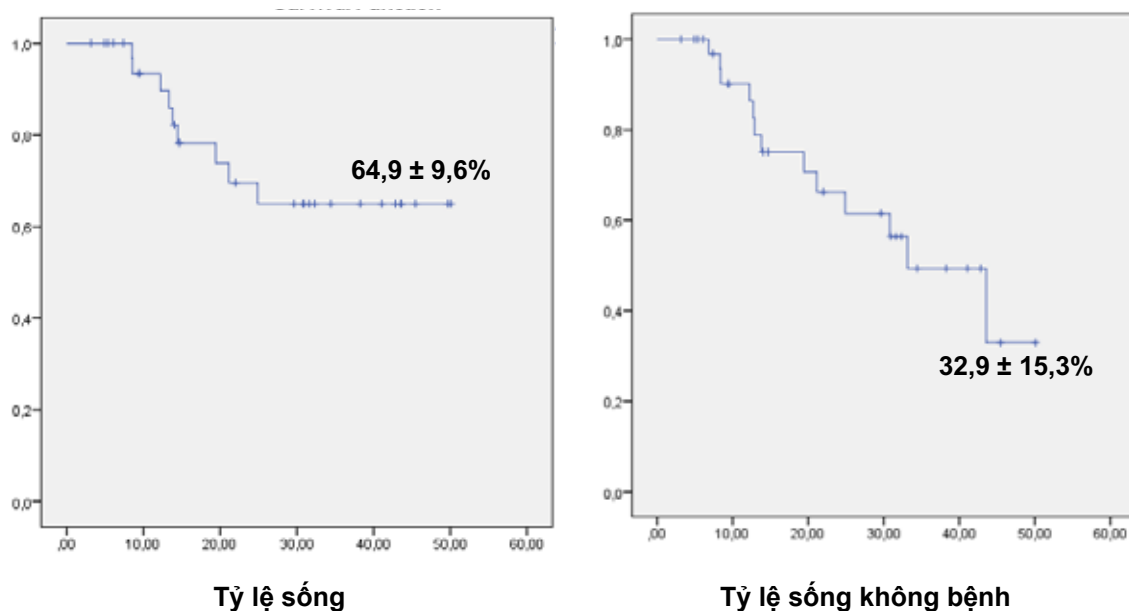
Kết quả điều trị



□ Sống ■ Tái phát ▨ Tử vong do tái phát ▩ Tử vong khác

Biểu đồ 1. Kết quả chung của điều trị

Kết thúc nghiên cứu ghi nhận 9 trẻ tử vong (25%) trong đó 7 trường hợp (77,8%) do tái phát, 2 ca bệnh còn lại (22,2%) do nhồi máu não và tiến triển nặng do bỏ điều trị.

Tỷ lệ sống trong nghiên cứu**Biểu đồ 2. Tỷ lệ sống trong nghiên cứu**

Trong nghiên cứu, tỷ lệ sống đạt 64,9% tuy nhiên tỷ lệ sống không bệnh chỉ đạt 32,9%.

Một số yếu tố ảnh hưởng tỷ lệ sống trong nghiên cứu**Bảng 7. Một số yếu tố ảnh hưởng đến kết quả điều trị**

	OS 4 năm (%)	p	EFS 4 năm (%)	p
GPB				
Thể phôi	80,8 ± 12,6	0,495	54,2 ± 23,6	0,53
Nhóm còn lại	56,6 ± 13,6		33,3 ± 16,4	
FOXO1				
Âm tính	88,9 ± 10,5	0,277	44,4 ± 31,9	0,183
Dương tính	57,6 ± 11,5		36,9 ± 12,6	
Hạch vùng				
Không	75 ± 12,7	0,414	45,8 ± 14,9	0,832
Có	56,8 ± 13,6		0	
Vị trí khối u				
Thuận lợi	75 ± 15,8	0,517	36,2 ± 16,9	0,807
Không thuận lợi	60,6 ± 11,8		30,9 ± 23,6	

	OS 4 năm (%)	p	EFS 4 năm (%)	p
Nhóm tuổi				
Thuận lợi	80,2 ± 12,8	0,525	42,8 ± 13,7	0,599
Không thuận lợi	59,2 ± 12		32,3 ± 24,4	
Khối u				
Dưới 5cm	68,7 ± 15,3	0,563	51,6 ± 18,8	0,347
Trên 5cm	60,7 ± 12,6		23,5 ± 17,9	
Tồn dư sau mổ				
IRS I + II	76,2 ± 12,1	0,344	51,9 ± 17,8	0,599
IRS III	55 ± 14,1		29,8 ± 15,8	
Nhóm nguy cơ				
Trung bình	75,5 ± 10,9	0,326	51,9 ± 15,7	0,910
Cao và rất cao	51,1 ± 15,8		24,1 ± 18,6	

Trong nghiên cứu, chưa có sự khác biệt có ý nghĩa thống kê về tỷ lệ sống và tỷ lệ sống không bệnh với các yếu tố đặc điểm khối u, bệnh học và nhóm nguy cơ.

IV. BÀN LUẬN

Nghiên cứu của chúng tôi mô tả đặc điểm lâm sàng, cận lâm sàng cũng như kết quả điều trị của loạt ca bệnh trẻ em và thanh thiếu niên mới được chẩn đoán mắc Sarcoma cơ vân không di căn trong bối cảnh nguồn lực hạn chế tại Việt Nam. Chúng tôi mô tả 36 trẻ mắc bệnh, trong đó có 24 bệnh nhân nam, chiếm tỷ lệ 66,7%. Ưu thế về giới tính này cũng đã được các tác giả trên thế giới mô tả trước đó. Nghiên cứu của Nyeko trên 128 trẻ mắc RMS tại Uganda cho thấy tỷ lệ nam giới chiếm 54,7%, và Shern đã báo cáo tỷ lệ nam giới tương tự như nghiên cứu của chúng tôi (67%) khi mô tả 641 bệnh nhân RMS tại Anh và Bắc Mỹ.^{3,6} Sự chênh lệch về giới này được quan sát thấy không chỉ trong RMS mà còn trong hầu hết các loại ung thư trẻ em. Mặc dù xu hướng này đã được báo cáo từ lâu, nguyên nhân của nó vẫn chưa được

hiểu biết đầy đủ, nhưng có thể liên quan đến di truyền, môi trường, và nội tiết tố.⁷

Các bệnh nhân của chúng tôi có độ tuổi trung vị là 10,6 tuổi (khoảng tứ phân vị: 5,3 - 14,6 tuổi). Sự phân bố về tuổi này cao hơn các nghiên cứu đã có trên thế giới. RMS là khối u ác tính thường được mô tả có tuổi chẩn đoán sớm, với khoảng 70% các trường hợp chẩn đoán trong thập kỷ đầu tiên của cuộc đời.⁸ Các nghiên cứu ở châu Á (Park và cộng sự), Trung Đông (Markiz và cộng sự), châu Âu và Bắc Mỹ (Shern) đều mô tả tuổi trung vị của nhóm đối tượng RMS trẻ em khoảng 6 tuổi.^{3,9,10} Tương tự, tại Việt Nam, báo cáo của Nguyễn Mai Phương và cộng sự năm 2013 với 50 trẻ tại Bệnh viện Ung bướu thành phố Hồ Chí Minh, tuổi mắc bệnh là 5,68 với 64% dưới 6 tuổi; bài báo của tác giả Nghiêm Ngọc Linh năm 2018 với 54 bệnh nhân RMS ở bệnh viện Nhi Trung ương có tuổi trung bình lúc chẩn đoán là 49,94 tháng.^{11,12} Nguyên nhân của sự khác biệt này là do ở Hà Nội, trẻ nhỏ mắc sarcoma cơ vân thường được khám và điều trị tại bệnh viện Nhi Trung ương hơn là đơn vị của chúng tôi - Bệnh viện Ung thư Quốc gia.

Sarcoma cơ vân có thể biểu hiện ở mọi vị trí trên cơ thể. Trong nghiên cứu của chúng tôi, các vị trí thường gặp nhất là đầu cổ (41,7%) và cạnh màng não (19,4%). Các nghiên cứu trên thế giới báo cáo các kết quả gần tương tự nhau về tỷ lệ bệnh vị trí cạnh màng não (dao động 21-28%) và đây là một trong các vị trí thường gặp nhất của RMS.⁴ Tuy nhiên, tỷ lệ bệnh vùng đầu cổ không cạnh màng não thay đổi rất khác nhau giữa các nghiên cứu: Nyeko báo cáo tại Uganda, tỷ lệ này là 42,2% trong khi Bisogno và cộng sự mô tả là 21,2% khi nghiên cứu trên quần thể trẻ em Châu Âu; tương tự, tại Việt Nam, theo tác giả Nghiêm Ngọc Linh u đầu mặt cổ chiếm 20,4% các ca bệnh.^{4,6,12} Sự phân bố của các vị trí nguyên phát rõ ràng là rất khác nhau giữa các vùng địa lý. Bên cạnh đó, chẩn đoán và điều trị các khối u đầu mặt cổ là một điểm mạnh tại Bệnh viện K, có lẽ vì vậy tỷ lệ bệnh nhân có khối u vị trí này hay gặp hơn.

Kích thước khối u là một yếu tố có giá trị trong phân nhóm điều trị RMS. Trong nghiên cứu của chúng tôi, mặc dù 36 trẻ mắc sarcoma chưa di căn xa nhưng 61,1% số bệnh nhân có kích thước $u > 5\text{cm}$. Kết quả này thống nhất với các quan sát của các tác giả trên thế giới về xu hướng nổi trội của u kích thước lớn: Nyeko mô tả có 55,5% số bệnh nhân có u trên 5cm và Bisogno báo cáo tỷ lệ này là 51%.^{4,6} Tương tự, tại Bệnh viện Nhi Trung ương, với 54 trẻ mắc sarcoma cơ vân, 59,3% trẻ có khối u trên 5cm, trong đó trên 10cm chiếm 22,2% ca bệnh.¹² Ung thư trẻ em, bao gồm RMS, thường có biểu hiện triệu chứng đa dạng, dễ chẩn đoán nhầm hoặc bỏ sót ở giai đoạn khởi phát, và không có các dấu hiệu hoặc chỉ điểm đặc hiệu. Do đó, tại thời điểm chẩn đoán bệnh, các khối u lớn trên 5cm thường xuất hiện hơn các khối u nhỏ. Theo kết quả của chúng tôi, trẻ thường mất gần 2 tháng để được chẩn đoán, và phần lớn mất từ 1 - 4 tháng để xác định được chẩn đoán bệnh. Nguyên nhân có thể do gia đình chưa

chú ý các triệu chứng khởi phát bệnh, thêm vào đó thời điểm dịch covid năm 2021 - 2022 làm chậm trễ hơn thời gian trẻ được đi khám và làm các xét nghiệm chẩn đoán. Mặc dù đây là nhóm bệnh nhân không di căn xa nhưng trước điều trị, chúng tôi ghi nhận 44,4% trẻ có di căn hạch vùng. Nghiên cứu của Rees và cộng sự năm 2000 - 2016, tỷ lệ di căn hạch vùng chỉ chiếm là 33,8%.¹³ Tương tự nghiên cứu tại Thái Lan trong 16 năm cũng có tỷ lệ là 33% hay như báo cáo của Ramanathan và cộng sự ở Ấn Độ, hạch vùng lúc chẩn đoán là 39%.^{14,15} Điều này cho thấy một nhu cầu cấp thiết cần có các giải pháp để chẩn đoán sớm các bệnh lý ung thư trẻ em nói chung và sarcoma cơ vân ở trẻ em nói riêng.

Sự phân bố về mô bệnh học của nhóm trẻ mắc sarcoma cơ vân của chúng tôi cũng có những điểm đáng chú ý. Trong khi tỷ lệ sarcoma cơ vân thể phôi và thể nang vẫn chiếm đa số (88,8%), như y văn mô tả, thì tỷ lệ của riêng sarcoma cơ vân thể phôi (embryonal Rhabdomyosarcoma- eRMS) khá thấp so với các nghiên cứu trên thế giới là 44,4%. eRMS được biết tới là dạng sarcoma cơ vân phổ biến nhất, chiếm 60 - 70% các ca RMS. Bisogno khi nghiên cứu 1733 trẻ RMS ở châu Âu đã báo cáo tỷ lệ eRMS lên tới 71,3%, hay dữ liệu 1975 - 2005 tại Hoa Kỳ cũng cho thấy tỷ lệ này là 59,1%.^{4,16} Sarcoma cơ vân thể phôi có đặc điểm phân bố không đều theo tuổi, với đỉnh tuổi ở nhóm 0 - 4 tuổi. Do đặc điểm bệnh nhân của chúng tôi có tỷ lệ trẻ dưới 6 tuổi thấp, tỷ lệ eRMS theo đó không cao như các nghiên cứu đã mô tả. Trong khi đó, sarcoma cơ vân thể nang có phân bố đều theo các nhóm tuổi và được báo cáo ở nhóm không di căn dao động 21,3 - 30,2% qua các nghiên cứu và được coi là tiêu chí mô bệnh học không thuận lợi.¹³⁻¹⁶ Tuy nhiên, trong những năm gần đây Nhóm nghiên cứu Ung thư trẻ em (COG - Bắc Mỹ) và Nhóm nghiên cứu Ung thư mô mềm trẻ em

châu Âu (EpssG) đã đề xuất thay thế trạng thái dung hợp gen FOXO1 thay cho tiêu chí mô bệnh học trong việc phân nhóm điều trị và tiên lượng. 100% các bệnh nhân trong loạt ca bệnh của chúng tôi được khảo sát sự dung hợp gen FOXO1 và tỷ lệ không dung hợp gen là 63,9%, gần tương tự báo cáo của EpssG (60,1%).⁴ Chỉ định xét nghiệm gen FOXO1 thường tiến hành sớm khi có báo cáo giải phẫu bệnh và cần 7 - 10 ngày để có kết quả; trong thời gian đó, bệnh nhân được thực hiện song song các xét nghiệm tầm soát giai đoạn. Các trường hợp cấp cứu với khối u lớn, chảy máu... có thể sẽ được điều trị ngay khi có kết quả giải phẫu bệnh và liệu trình được hội chẩn để thay đổi khi đủ xét nghiệm gen và giai đoạn bệnh.

Ngoài các yếu tố về tuổi, kích thước u, thể mô bệnh học và dung hợp gen kể trên, một yếu tố không thể thiếu để phân nhóm nguy cơ là phân nhóm IRS (Intergroup Rhabdomyosarcoma Study), giúp đánh giá khả năng phẫu thuật khối u dựa trên mức độ xâm lấn u. Các nghiên cứu trên thế giới chỉ ra IRS III (không thể cắt bỏ hoàn toàn) là nhóm thường gặp nhất (75 - 85%).^{4,6} Chúng tôi chỉ gặp nhóm này với tỷ lệ 75%. Tuy vậy, trong nghiên cứu, 17/36 trẻ được phẫu thuật trước (47,2%) nhưng gần một nửa các trường hợp còn tổn thương tồn dư; đặc biệt 10/17 ca có khối u trên 5cm. Sarcoma cơ vân là một trong những bệnh lý rất nhạy cảm với hoá chất và xạ trị, việc cố gắng phẫu thuật các khối u lớn sẽ gây ra khó khăn trong việc đạt được mép cắt không u an toàn cũng như đảm bảo chức năng của cơ quan bị bệnh sau phẫu thuật. Nghiên cứu của chúng tôi có 84,2% trẻ có đáp ứng với hoá trị trong nhóm trẻ chỉ sinh thiết trong khi 35,3% trẻ dù cố gắng phẫu thuật từ đầu vẫn không đạt được đáp ứng hoàn toàn. Khuyến cáo đặt ra với các khối u phần mềm lớn trên 5cm ở trẻ em nên được tiếp cận an toàn với sinh thiết kim trước điều trị để xác định mô bệnh học, và với RMS, hoá trị có thể thu nhỏ

khối u và hỗ trợ cho điều trị tại chỗ về sau.¹

Kết thúc nghiên cứu, tỷ lệ sống và sống không bệnh sau 4 năm của nhóm trẻ mắc sarcoma cơ vân không di căn là 64,9% và 32,9%, theo thứ tự. Kết quả này tương tự báo cáo của Nghiêm Ngọc Linh với nhóm trẻ dù có tuổi mắc bệnh thấp hơn (dưới 10 tuổi là 92,6%), phần lớn là sarcoma cơ vân thể phôi (70,4%), tỷ lệ sống toàn bộ trong 5 năm là 53,2%.¹² Báo cáo của tác giả ở Bắc Phi với 75 trẻ mắc sarcoma cơ vân không di căn trong khoảng thời gian từ 1994 - 2016 cũng cho kết quả tương đồng với nghiên cứu của chúng tôi với tỷ lệ sống và sống không bệnh là 50% và 26%.² Tuy nhiên, với tổng kết của El-Badawy và cộng sự ở 56 trẻ RMS không di căn được điều trị theo phác đồ 6 thuốc, tỷ lệ sống và sống không bệnh sau 5 năm được ghi nhận khá cao là 71% và 57%.¹⁷ Sự khác biệt có thể do đặc điểm nhóm bệnh nhân khác nhau và sự tuân thủ điều trị theo nghiên cứu ở các nước phát triển tốt hơn. Như đã phân tích, thời gian chờ chẩn đoán và điều trị nhóm bệnh nhân trong nghiên cứu của chúng tôi khá dài, điều này có thể ảnh hưởng tới kết quả điều trị cuối cùng.

Nghiên cứu của chúng tôi nhận thấy rằng: trẻ có RMS thể phôi, xét nghiệm FOXO1 âm tính, không có hạch vùng, tuổi thuận lợi, không tồn dư sau mổ ban đầu và nhóm nguy cơ trung bình có tỷ lệ sống cao hơn nhóm còn lại nhưng khác biệt không có ý nghĩa thống kê (theo bảng 5 phần kết quả). Tuy nhiên với các nghiên cứu khác, một số các yếu tố liên quan được mô tả rõ ràng. Nghiên cứu của Thái Lan cho thấy tỷ lệ sống cao hơn ở nhóm trẻ dưới 10 tuổi, nhóm IRS I/II và các bệnh nhân thuộc nguy cơ trung bình ($p < 0,05$); tương tự, Feryel và cộng sự cũng đưa ra nhận định trẻ có hạch vùng tỷ lệ sống thấp hơn so với trẻ có bệnh tại chỗ (40% so với 60%, $p = 0,041$).^{2,14} Ramanathan và cộng sự nghiên cứu trên 182 trẻ RMS không di căn cũng cho thấy rằng trẻ có kích thước khối u lớn,

tổn thương hạch vùng có ảnh hưởng nhất định đến tỷ lệ sống của trẻ trong khi các yếu tố mô bệnh học, gen FOXO1, vị trí u và nhóm nguy cơ trước điều trị không có ảnh hưởng rõ rệt.¹⁵ Việc kết hợp điều trị đa mô thức và theo nhóm nguy cơ nhằm nâng cao kết quả điều trị và giảm tác dụng không mong muốn của điều trị dù ban đầu trẻ có sự khác biệt về đặc điểm lâm sàng. Có lẽ việc tiếp cận đúng đắn này đã đưa ra kết quả điều trị cao hơn ở các nhóm trẻ có nhiều yếu tố không thuận lợi.¹⁷

V. KẾT LUẬN

Tại khoa Nội Nhi bệnh viện K, sarcoma cơ vân không di căn xa có đặc điểm tuổi mắc bệnh thường là trẻ lớn, nam chiếm đa số, vị trí hay gặp nhất là khối u đầu mặt cổ và khối u cạnh màng não với tỷ lệ gặp khối u trên 5cm và di căn hạch vùng tại thời điểm chẩn đoán còn cao. Với điều trị đa mô thức, tỷ lệ sống và sống không bệnh đạt 64,9% và 32,9% tương tự các nghiên cứu tại các nước đang phát triển. Tuy nhiên, cần có các biện pháp chẩn đoán sớm rút ngắn thời gian chờ điều trị và với các khối u lớn trên 5cm nên được sinh thiết và hoá trị trước mổ.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

1. Merks JHM, Brack E, Ebinger M, et al. European standard clinical practice recommendations for children and adolescents with Rhabdomyosarcoma a joint EpSSG, CWS and ERN PaedCan project. *EJC Paediatric Oncology*. 2025; 5: 100229. doi:10.1016/j.ejcped.2025.100229.
2. Ksontini FL. Non Metastatic Rhabdomyosarcoma in Children: Therapeutic Outcome and Prognostic Factors of a Single Institution Case Series. *Journal of Cancer Science & therapy*. 2021; 13:7.
3. Shern JF, Selfe J, Izquierdo E, et al. Genomic Classification and Clinical Outcome in Rhabdomyosarcoma: A Report From an International Consortium. *J Clin Oncol*. 2021; 39(26): 2859-2871. doi:10.1200/JCO.20.03060.
4. Bisogno G, Minard-Colin V, Zanetti I, et al. Nonmetastatic Rhabdomyosarcoma in Children and Adolescents: Overall Results of the European Pediatric Soft Tissue Sarcoma Study Group RMS2005 Study. *J Clin Oncol*. 2023; 41(13): 2342-2349. doi:10.1200/JCO.22.02093.
5. Đỗ Cẩm Thanh, Đỗ Hùng Kiên, Hoàng Thu Trang, Trần Hải Nam, Hoàng Thị Thuỳ Linh, Lê Thị Thuỳ Dung. Mô hình bệnh tật và Kết quả điều trị tại khoa Nhi Bệnh viện K - cơ sở Tân Triều. *TNU Journal of Science and Technology*. 2024; 229(13): 244-251.
6. Nyeko R, Geriga F, Angom R, Kambugu JB, van Heerden J. Predictors of survival among children and adolescents with rhabdomyosarcoma treated in a single resource-limited centre - Uganda. *BMC Cancer*. 2025; 25: 1299. doi:10.1186/s12885-025-14735-3.
7. Cosci I, Del Fiore P, Mocellin S, Ferlin A. Gender Differences in Soft Tissue and Bone Sarcoma: A Narrative Review. *Cancers (Basel)*. 2023; 16(1): 201. doi:10.3390/cancers16010201.
8. Miwa S, Yamamoto N, Hayashi K, Takeuchi A, Igarashi K, Tsuchiya H. Recent Advances and Challenges in the Treatment of Rhabdomyosarcoma. *Cancers (Basel)*. 2020; 12(7): 1758. doi:10.3390/cancers12071758.
9. Park M, Lee JA, Jin HY, et al. Clinical characteristics and long-term outcomes of rhabdomyosarcoma in Korean children, adolescents and young adults: a single-center experience. *J Cancer Res Clin Oncol*. 2022; 149(7): 3109-3119. doi:10.1007/s00432-022-04192-x.
10. Markiz SN, Khan S, Wagley ZB, et al. Rhabdomyosarcoma in children: Retrospective analysis from a single tertiary care center in Saudi Arabia. *Cancer Rep (Hoboken)*. 2022; 6(1): e1683. doi:10.1002/cnr2.1683.

11. Mai VTP, Anh CTT, Khương TC. Chẩn đoán và điều trị sarcom cơ vân ở trẻ em. *Tạp chí Y học lâm sàng Bệnh viện Trung Ương Huế*. 2013; (17): 333-338.

12. Nghiêm Ngọc Linh, Bùi Ngọc Lan. Nghiên cứu đặc điểm dịch tễ học lâm sàng và nhận xét kết quả điều trị Sarcom cơ vân trẻ em. *Tạp chí Y học thực hành*. 2018; (1080): 165-168.

13. Rees HD, Hills NK, Sabnis AJ, Tulpule AB, Shimotake TK, Goldsby RE. Clinical characteristics and outcomes of infants compared with children diagnosed with rhabdomyosarcoma: Analysis of surveillance, epidemiology and end results data from 2000 to 2016. *Cancer Rep (Hoboken)*. 2021; 5(5): e1503. doi:10.1002/cnr2.1503.

14. Preechawetchakul P, Sripornsawan P, Rajborirug S, Sangkhathat S, Sangsupavanich P, Chotsampancharoen T. Inferior Clinical Outcomes of Pediatric Rhabdomyosarcoma in Thailand: A 16-Year Experience in a Single

Tertiary Institution. *Asian Pac J Cancer Prev*. 2022; 23(8): 2805-2811. doi:10.31557/APJCP.2022.23.8.2805.

15. Ramanathan S, Sisodiya S, Shetty O, et al. Outcome and prognostic variables in childhood rhabdomyosarcoma (RMS) with emphasis on impact of FOXO1 fusions in non-metastatic RMS: experience from a tertiary cancer centre in India. *Ecancermedicalscience*. 2023; 17: 1539. doi:10.3332/ecancer.2023.1539.

16. Ognjanovic S, Linabery AM, Charbonneau B, Ross JA. Trends in Childhood Rhabdomyosarcoma Incidence and Survival in the United States (1975-2005). *Cancer*. 2009; 115(18): 4218-4226. doi:10.1002/cncr.24465.

17. El-Badawy SA, El-Badawy SA. Treatment of non-metastatic rhabdomyosarcoma and other non rhabdomyosarcoma soft tissue malignant tumours of childhood and adolescence. *J Clin Oncol*. 2005; 23(16_suppl):8557-8557. doi:10.1200/jco.2005.23.16_suppl.8557.

Summary

CLINICAL CHARACTERISTICS AND TREATMENT OUTCOMES OF NONMETASTATIC PEDIATRIC RHABDOMYOSARCOMA AT VIETNAM NATIONAL CANCER HOSPITAL

Rhabdomyosarcoma is the most common type among soft tissue malignant in children. This article reviews the clinical characteristics and treatment outcome of 36 children with nonmetastatic rhabdomyosarcoma at the Pediatric Department of Vietnam National Cancer Hospital from 2021 - 2024. In this study, the median age was 10.6 years old (ranging from 5.3 - 14.6 years old); male accounted for 66.7%. The most common tumor locations were at the head and neck (41.7%) and parameningeal site (19.4%). The study found that 36.1% cases had FOXO1 fusion; 44.4% had regional lymph node metastasis and the high and very high group accounted for 66.6%. In this study, 17 children (47.2%) underwent surgery first, with 9/17 children having the entire tumor removed; 84.2% of children responded well to the first 3 chemotherapy courses. At the end of the study, the 4 years Overall survival rate and disease-free survival rate were 64.9% and 32.9%, respectively. There was no statistically significant difference in survival rate with tumor characteristics and risk groups. Multimodal treatment according to risk groups in non-metastasis rhabdomyosarcoma brings significant results, but early diagnosis and approach to large tumors with biopsy and chemotherapy before surgery are needed.

Keywords: Nonmetastasis rhabdomyosarcoma, Rhabdomyosarcoma, Vietnam National Cancer hospital.