

Neuartige Therapie für Phelan-McDermid-Syndrom Arzneimittelentwicklung wird mit bis zu 1,7 Millionen Euro gefördert

Ein internationales Team unter der Leitung des Ulmer Universitätsmediziners Professor Tobias M. Böckers erhält bis zu 1,7 Millionen Euro, um eine neuartige Therapie für eine seltene, syndromische Form von Autismus zu entwickeln. Im Mittelpunkt des Forschungsprojekts steht ein Gen, dessen Funktionsverlust sich in schweren Beeinträchtigungen von Sprache, Verhalten und Alltagsfunktionen der Betroffenen äußern kann. Finanziert wird das Projekt von der gemeinnützigen Organisation SPARK NS, die die effiziente Arzneimittelentwicklung im Bereich Autismus und Parkinson fördern möchte.

An der Universität Ulm startet ein translationales Forschungsprojekt zur Entwicklung einer neuartigen Therapie für das Phelan-McDermid-Syndrom (PMS). Dabei handelt es sich um eine seltene, genetisch bedingte neuronale Entwicklungsstörung, die zu einer genetisch diagnostizierbaren Form von Autismus führt. Im Mittelpunkt der Forschung steht das Gen SHANK3. „Der Funktionsverlust dieses Gens kann zu Störungen an Nervenzell-Synapsen führen und sich unter anderem in schweren Beeinträchtigungen von Sprache, Verhalten und Alltagsfunktionen äußern“, erläutert Professor Tobias M. Böckers. Der Direktor des Instituts für Anatomie und Zellbiologie und Studiendekan Medizin leitet das an der Uni Ulm angesiedelte Projekt „A Therapeutic for Shank3-related Autism (PMS)“, das als eines von neun Projekten 2026 von der gemeinnützigen Organisation für translationale Forschung SPARK NS neu gefördert wird.

In einem internationalen Team entwickeln und testen Forschende aus Mailand und Ulm Antisense-Oligonukleotide – kurze, synthetische Nukleinsäuren, die zur Therapie genetisch bedingter Erkrankungen eingesetzt werden –, die die Bildung des funktionellen SHANK3-Proteins erhöhen sollen. Die Wirkstoffe waren bereits in einem breit angelegten Suchverfahren identifiziert worden und werden nun in patientenabgeleiteten Zellmodellen sowie in präklinischen Modellen weiter validiert. „Unser Ziel ist es, die Grundlage für eine erste klinische Prüfung zu schaffen“, sagt Professor Böckers. Begleitend werden Biomarker-Messungen beispielsweise in Blut und Liquor (Gehirn-Rückenmark-Flüssigkeit) etabliert, um Effekte früh beurteilen und die Behandlung präzise steuern zu können. „Die Phelan McDermid-Ambulanz unserer klinischen Kolleginnen und Kollegen in der Neurologie bietet dafür beste Voraussetzungen.“ SPARK NS stellt nicht nur Finanzmittel, sondern auch ein hohes Maß an zusätzlicher Unterstützung bereit. So sollen die Chancen dafür erhöht werden, dass Therapeutika tatsächlich auf den Markt kommen und Patientinnen und Patienten direkt zugutekommen können.

„Die Förderung durch SPARK NS gibt uns die Möglichkeit, einen vielversprechenden Ansatz in Richtung Therapie zu bringen – mit dem klaren Ziel, Familien, die heute kaum mehr als unterstützende Maßnahmen haben, eine echte Perspektive zu eröffnen“, so Tobias M. Böckers. „Wir wollen möglichst früh objektiv messen können, ob die Behandlung im Gehirn ankommt und Wirkung zeigt, und damit den Weg in eine erste klinische Prüfung verantwortungsvoll und zügig vorbereiten.“

Über SPARK NS

SPARK NS ist eine unabhängige, gemeinnützige Organisation für translationale Forschung mit Sitz in den USA. Die 2023 gegründete Organisation will vielversprechende akademische Entdeckungen in den Neurowissenschaften effektiver vom Labor in die Klinik übertragen. Neben der finanziellen Unterstützung bietet die Nonprofit-Organisation Forschenden Beratung, Schulungen in den Bereichen Arzneimittelentwicklung und translationale Forschung, eine Kooperationsgemeinschaft sowie Unterstützung nach Abschluss des Förderprogramms. Das SPARK NS Translational Research Program umfasst aktuell 22 Projekte in den USA, Großbritannien und Europa, die zusammen bis zu 44 Millionen US-Dollar an Fördermitteln und Unterstützung für die Arzneimittelentwicklung erhalten können.

02.03.2026

Quelle: Universität Ulm

Weitere Informationen

Prof. Dr. Tobias M. Böckers

Direktor des Instituts für Anatomie und Zellbiologie und Studiendekan Medizin

Mail: tobias.boeckers(at)uni-ulm.de

► [Universität Ulm](#)