

## Biohaven fait le point sur l'essai de phase 3 et le programme dans l'atrophie multi-systématisée (AMS)



NEW HAVEN, Connecticut, 27 septembre 2021 /PRNewswire/ -- Biohaven Pharmaceutical Holding Company Ltd. (NYSE : BHVN) a annoncé aujourd'hui les résultats d'une analyse ciblée d'un essai clinique de verdiperstat dans l'atrophie multi-systématisée (AMS). Le verdiperstat n'a pas fait de différence statistique par rapport au placebo sur la mesure d'efficacité primaire

prédéfinie, ni sur les principales mesures d'efficacité secondaires. L'analyse initiale des données d'innocuité était cohérente avec le profil global du verdiperstat d'après l'expérience d'essais cliniques antérieurs. Des analyses supplémentaires sont toujours en attente et les résultats complets de l'étude seront présentés lors d'une prochaine réunion scientifique.

Irfan Qureshi, MD, vice-président « neurologie » chez Biohaven a commenté : « *Bien que nous soyons déçus que le verdiperstat n'ait pas démontré son efficacité pour le traitement de l'AMS, Biohaven reste déterminé à lutter au nom des personnes vivant avec des maladies neurodégénératives. Il n'existe actuellement aucune thérapie de fond de l'AMS approuvée et nous devons continuer à faire avancer la science pour améliorer les résultats du traitement pour les patients souffrant de cette maladie. Nous sommes extrêmement reconnaissants envers la communauté internationale de l'AMS, en particulier les patients et leurs familles, les chercheurs et leurs équipes, et les groupes de défense des patients qui a rendu le procès possible.* »

Le verdiperstat est un inhibiteur de l'enzyme myéloperoxydase (MPO) expérimental, puissant, sélectif, pénétrant dans le cerveau et irréversible (MPO) que Biohaven développe actuellement pour le traitement des maladies neurodégénératives. Le verdiperstat peut aider à préserver les neurones en inhibant le stress oxydatif pathologique induit par la MPO et une inflammation supplémentaire qui contribue aux lésions cellulaires dans les maladies neurodégénératives.

Bien que le mécanisme d'action du verdiperstat, l'inhibition de la myéloperoxydase, ne se soit pas avéré efficace pour l'AMS, la justification du ciblage de l'inflammation cérébrale reste forte dans d'autres états pathologiques. Un essai clinique en cours évaluant l'efficacité du verdiperstat dans la sclérose latérale amyotrophique (SLA) est mené en collaboration avec le Sean M. Healey & AMG Center for ALS du Massachusetts General Hospital et devrait s'achever au quatrième trimestre 2021.

## **À propos de l'AMS**

L'AMS est une maladie neurodégénérative rare, rapidement progressive, gravement débilante et mortelle, qui entraîne la mort dans un délai médian de 6 à 10 ans après l'apparition des symptômes. Les manifestations de l'AMS peuvent inclure un dysfonctionnement urinaire et sexuel, des étourdissements et des évanouissements dus à une pression artérielle basse (hypotension orthostatique) et des troubles moteurs tels que des tremblements, une rigidité, une démarche instable et des difficultés à parler et à avaler. Les causes de décès les plus fréquentes dans l'AMS sont les infections et les complications cardio-pulmonaires. Actuellement, les patients ne reçoivent que des thérapies symptomatiques et palliatives car il n'existe aucun traitement modificateur de la maladie et aucun remède contre le MSA.

## **À propos de Biohaven**

Biohaven est une société biopharmaceutique au stade commercial avec un portefeuille de thérapies innovantes et de premier ordre pour améliorer la vie des patients atteints de maladies neurologiques et neuropsychiatriques débilantes, y compris les maladies rares. Le portefeuille de neuroinnovation de Biohaven comprend le NURTEC ODT (rimegepant) approuvé par la FDA pour le traitement aigu et préventif de la migraine et un large portefeuille de produits candidats à un stade avancé sur trois plateformes mécanistiques distinctes : l'antagonisme des récepteurs CGRP pour le traitement aigu et préventif de la migraine ; la modulation du glutamate pour le trouble obsessionnel-compulsif, la maladie d'Alzheimer et l'ataxie spinocérébelleuse ; et l'inhibition de la MPO pour les maladies neurodégénératives, y compris la SLA. Plus d'informations sur Biohaven sont disponibles sur [www.biohavenpharma.com](http://www.biohavenpharma.com).

## **Énoncés prospectifs**

Ce communiqué de presse contient des déclarations prospectives au sens de la loi Private Securities Litigation Reform Act de 1995. Ces déclarations prospectives impliquent des risques et des incertitudes substantiels, y compris des déclarations basées sur les attentes et hypothèses actuelles de la direction de la Société. L'utilisation de certains mots, y compris « s'attendre » et « sera » et des expressions similaires, est destinée à identifier les déclarations prospectives. La Société peut ne pas atteindre les plans et objectifs divulgués dans les déclarations prospectives et vous ne devez pas vous fier indûment aux déclarations prospectives de la Société. Divers facteurs importants pourraient faire en sorte que les résultats ou événements réels diffèrent sensiblement de ceux qui peuvent être exprimés ou sous-entendus par nos déclarations prospectives, y compris les incertitudes relatives au succès clinique futur du verdiperstat. D'autres facteurs importants à prendre en compte dans le cadre des déclarations prospectives sont décrits dans la section « Facteurs de risque » du rapport annuel de la société sur le formulaire 10-K pour l'exercice clos le 31 décembre 2020, déposé auprès de la Securities and Exchange Commission le mars 1, 2021, et dans les dépôts ultérieurs de Biohaven auprès de la Securities and Exchange Commission. Les déclarations prospectives sont faites à cette date et Biohaven n'assume aucune obligation de mettre à jour les déclarations prospectives, que ce soit à la suite de nouvelles informations, d'événements futurs ou autrement, sauf si la loi l'exige.

# Biohaven Provides Update On Phase 3 Trial And Multiple System Atrophy (MSA) Program

09/27/2021



**NEW HAVEN, Conn., Sept. 27, 2021 /PRNewswire/ - Biohaven Pharmaceutical Holding Company Ltd.**

**(NYSE: BHVN) today announced results from a focused analysis of a clinical trial of verdiperstat in multiple system atrophy (MSA). Verdiperstat did not statistically differentiate from placebo on the prespecified primary efficacy measure, nor on the key**

**secondary efficacy measures. Initial analysis of safety data was consistent with the overall profile of verdiperstat from prior clinical trial experience. Additional analyses are still pending, and full study results will be presented at an upcoming scientific meeting.**

Irfan Qureshi, M.D., Vice President of Neurology at Biohaven commented, "While we are disappointed that verdiperstat did not demonstrate efficacy for the treatment of MSA, Biohaven remains committed to fighting on behalf of people living with neurodegenerative diseases. There are currently no approved disease modifying therapies for MSA and we must continue to advance the science to improve treatment outcomes for patients suffering from this disease. We are extremely grateful to the international MSA community – especially the patients and their families, investigators and their teams, and patient advocacy groups – who made the trial possible."

Verdiperstat is an investigational first-in-class, potent, selective, brain-penetrant, and irreversible myeloperoxidase (MPO) enzyme inhibitor that Biohaven is developing for the treatment of neurodegenerative diseases. Verdiperstat may help preserve neurons through inhibition of MPO-induced pathological oxidative stress and further inflammation that contribute to cellular injury in neurodegenerative disease.

Although the mechanism of action for verdiperstat, myeloperoxidase inhibition, was shown not to be effective for MSA, the rationale of targeting brain inflammation remains strong in other disease states. An ongoing clinical trial evaluating the efficacy of verdiperstat in amyotrophic lateral sclerosis (ALS) is being conducted in collaboration with the Sean M. Healey & AMG Center for ALS at Massachusetts General Hospital and is expected to complete enrollment in the fourth quarter of 2021.

## **About MSA**

MSA is a rare, rapidly progressive, severely debilitating, and fatal neurodegenerative disease that leads to death within a median of 6-10 years after the onset of symptoms. Manifestations of MSA can include urinary and sexual dysfunction, dizziness and fainting due to low blood pressure (orthostatic hypotension), and motor impairments such as tremor, rigidity, unsteady gait, and difficulty speaking and swallowing. The most common causes of death in MSA are infection and cardiopulmonary

complications. Currently, patients receive only symptomatic and palliative therapies as there are no disease-modifying treatments and no cure for MSA.

### **About Biohaven**

Biohaven is a commercial-stage biopharmaceutical company with a portfolio of innovative, best-in-class therapies to improve the lives of patients with debilitating neurological and neuropsychiatric diseases, including rare disorders. Biohaven's neuroinnovation portfolio includes FDA-approved NURTEC ODT (rimegepant) for the acute and preventive treatment of migraine and a broad pipeline of late-stage product candidates across three distinct mechanistic platforms: CGRP receptor antagonism for the acute and preventive treatment of migraine; glutamate modulation for obsessive-compulsive disorder, Alzheimer's disease, and spinocerebellar ataxia; and MPO inhibition for neurodegenerative disease, including ALS. More information about Biohaven is available at [www.biohavenpharma.com](http://www.biohavenpharma.com).

### **Forward-Looking Statements**

This news release includes forward-looking statements within the meaning of the Private Securities Litigation Reform Act of 1995. These forward-looking statements involve substantial risks and uncertainties, including statements that are based on the current expectations and assumptions of the Company's management. The use of certain words, including the "expect" and "will" and similar expressions are intended to identify forward-looking statements. The Company may not actually achieve the plans and objectives disclosed in the forward-looking statements and you should not place undue reliance on the Company's forward-looking statements. Various important factors could cause actual results or events to differ materially from those that may be expressed or implied by our forward-looking statements, including uncertainties relating to the future clinical success of verdiperstat. Additional important factors to be considered in connection with forward-looking statements are described in the "Risk Factors" section of the Company's Annual Report on Form 10-K for the year ended December 31, 2020, filed with the Securities and Exchange Commission on March 1, 2021, and in Biohaven's subsequent filings with the Securities and Exchange Commission. The forward-looking statements are made as of this date and Biohaven does not undertake any obligation to update any forward-looking statements, whether as a result of new information, future events or otherwise, except as required by law.