



ProteinQure

DARE TO DELIVER

Peptides, AI, and a Made-in-Canada Shot for Patients Without Options

Les peptides, l'IA et un vaccin fabriqué au Canada pour les patients n'ayant accès à aucun traitement

By Bryden O'Gallagher, MSc, Business Operations Associate, ProteinQure

Par Bryden O'Gallagher, M. Sc., Responsable des opérations commerciales, ProteinQure

WE'RE ONLY BEGINNING TO UNLOCK AI'S POTENTIAL IN DRUG DISCOVERY

The integration of artificial intelligence (AI) into drug discovery promises to accelerate the development of life-saving medicines. In 2024, three Nobel Prizes were awarded to individuals who made advancements at this intersection. Captivated by the opportunity, hundreds of companies have emerged with the goal of accelerating drug discovery. While AI tools have contributed meaningfully to parts of the discovery process—such as target identification, structure prediction and lead optimization—we have yet to see fully AI-designed therapeutics reach patients.

Despite advancements in tools like AlphaFold, we're still only scratching the surface. The real opportunity lies ahead: using AI not just to assist scientists, but to design entirely new classes of therapeutics. As a pioneer in both AI and peptide discovery, Canada is well-positioned to

ON COMMENCE À PEINE À METTRE L'IA AU SERVICE DE LA RECHERCHE EN MATIÈRE DE MÉDICAMENTS

L'intégration de l'intelligence artificielle (IA) au processus d'élaboration des médicaments promet d'accélérer la mise au point de traitements vitaux. En 2024, trois prix Nobel ont été décernés à des personnes ayant réalisé des percées à l'intersection de ces domaines. Des centaines d'entreprises ont ainsi vu le jour dans ce contexte, avec comme objectif d'accélérer la mise au point de médicaments. Bien que les outils d'IA aient contribué de manière significative à certaines phases du processus de recherche, telles que l'établissement des cibles, la prévision des structures et l'optimisation des candidats, il n'existe pas encore de traitements ayant été entièrement conçus par l'IA qui puissent être administrés aux patients.

Malgré les progrès ayant mené à des outils comme AlphaFold, nous ne sommes encore qu'au seuil de réelles avancées. Au-delà de l'IA au service des scientifiques, un

As a pioneer in both AI and peptide discovery, Canada is well-positioned to expand its global leadership.

expand its global leadership. At ProteinQure, we are harnessing cutting-edge AI to design novel peptides with the aim of delivering on the ultimate promise of this technology—creating better medicines, faster, for patients who need them most.

PROTEINQURE IS DESIGNING THE NEXT GENERATION OF PEPTIDE THERAPEUTICS WITH AI

Founded in Toronto, Canada by pioneers in quantum computing algorithms, ProteinQure has built ProteinStudio,TM a peptide design platform capable of incorporating thousands of unique building blocks that cannot be computationally modeled by other tools. By combining atomistic simulations with custom deep learning architectures, we navigate the vast design space, predicting properties of novel peptides with unprecedented therapeutic properties. We've partnered with over half a dozen leading pharmaceutical companies—including four of the top 25—to develop novel therapeutics across cancer, metabolic and central nervous system (CNS) disorders.

Inspired by the success of our partnerships, we established an internal drug discovery pipeline in 2022. Since then, we've delivered a clinical candidate in oncology (PQ203) and built a diverse pipeline of preclinical programs.

WE ARE LAUNCHING THE MOST IMPORTANT TRIAL BY A CANADIAN COMPANY IN THE PAST DECADE

Our Phase I clinical trial for PQ203 is set to launch later this year, with the first-in-human dosing expected in August 2025. We've gathered a world-class consortium of hospitals and investigators, including Toronto's Princess Margaret Cancer Centre and other top clinical sites across North America.

A successful outcome could position PQ203 for Breakthrough Therapy Designation, enabling accelerated approval and early commercialization in a market with multi-billion-dollar global potential. Sponsored by a Toronto-headquartered company, with internally developed IP, this trial represents one of Canada's strongest opportunities in the coming years to establish a homegrown anchor company at the intersection of AI and biopharma innovation.

En tant que pionnier de l'IA et de la recherche sur les peptides, le Canada est bien armé pour renforcer sa position de chef de file sur la scène internationale.

puissant potentiel demeure à exploiter : la conception entière par l'IA de types de traitements entièrement nouveaux. En tant que pionnier de l'IA et de la recherche sur les peptides, le Canada est bien armé pour renforcer sa position de chef de file sur la scène internationale. ProteinQure s'appuie sur une IA de nouvelle génération pour élaborer de nouveaux peptides, afin que cette technologie tienne son ultime promesse, soit la mise au point de meilleurs médicaments, plus rapidement, pour les patients qui en ont urgemment besoin.

PROTEINQURE À PIED D'ŒUVRE POUR CONCEVOIR LA PROCHAINE GÉNÉRATION DE MÉDICAMENTS À BASE DE PEPTIDES GRÂCE À L'IA

ProteinQure a été fondée à Toronto, au Canada, par des pionniers de l'informatique quantique et des algorithmes. La société a créé la plateforme ProteinStudioTM, qui permet de concevoir des peptides pouvant contenir des milliers de composants uniques que les autres outils informatiques sont incapables de modéliser. Ainsi, grâce à la combinaison de simulations atomistiques et d'architectures d'apprentissage profond adaptées, nous explorons un vaste espace de conception et arrivons à prévoir les propriétés de nouveaux peptides, qui recèlent des propriétés thérapeutiques sans précédent. Nous avons noué des partenariats avec plus d'une demi-douzaine d'entreprises pharmaceutiques de premier plan—dont quatre parmi les 25 plus grandes d'entre elles—pour élaborer de nouveaux traitements contre le cancer, les maladies métaboliques et les troubles du système nerveux central (SNC).

Stimulés par nos partenariats fructueux, nous avons mis en place un processus interne de recherche pharmaceutique en 2022. Nous avons ainsi pu concevoir un candidat pour essais cliniques en oncologie (PQ203) et constitué un éventail de programmes précliniques.

NOUS ENTAMONS LE PLUS IMPORTANT ESSAI CLINIQUE RÉALISÉ PAR UNE ENTREPRISE CANADIENNE AU COURS DE LA DERNIÈRE DÉCENNIE

Notre essai clinique de phase I pour le candidat PQ203 devrait débuter dans le courant de l'année, et le premier test chez l'humain est prévu pour août 2025. Nous avons réuni un ensemble d'hôpitaux et de chercheurs de renommée mondiale, dont le Princess Margaret Cancer Centre de Toronto et d'autres sites d'essais cliniques de premier plan situés un peu partout en Amérique du Nord.

WE LEVERAGED AI TO DESIGN PQ203, A FIRST-IN-CLASS ONCOLOGY THERAPEUTIC

Our clinical candidate is a peptide-drug conjugate (PDC) composed of a targeting peptide and a cancer-killing payload (see Figure 1 below). Designed using our proprietary AI platform and non-canonical amino acid chemistry, PQ203 is a first-in-class treatment for triple-negative breast cancer (TNBC)—a highly aggressive subtype with limited treatment options, and a leading cause of cancer-related death among women in Canada.

L'aboutissement de ce projet pourrait permettre au candidat PQ203 d'être considéré comme une « thérapie innovante » [breakthrough therapy, FDA], ce qui accélérerait le processus d'approbation et permettrait une commercialisation rapide, dans un marché dont le potentiel est estimé à plusieurs milliards de dollars à l'échelle mondiale. Cet essai, dont le promoteur est une entreprise de Toronto et dont la propriété intellectuelle a été mise au point à l'interne, représente l'une des meilleures perspectives à court terme pour le Canada en vue d'établir une entreprise phare à la croisée de l'IA et de l'innovation biopharmaceutique.

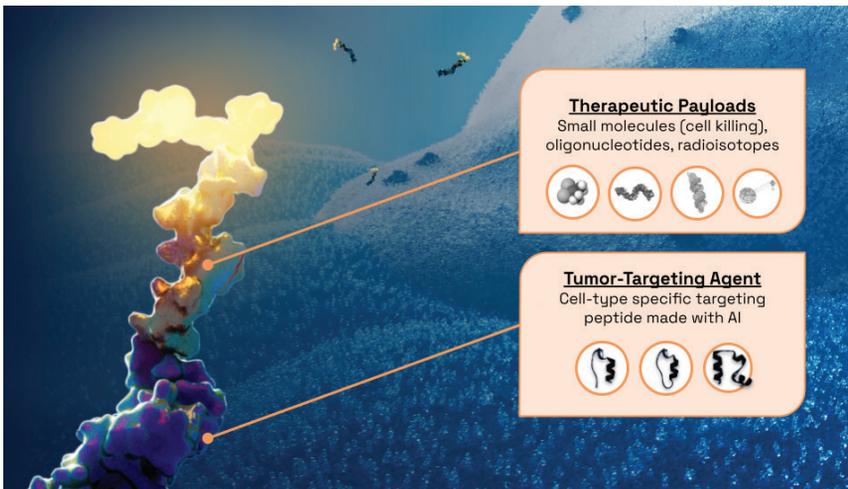


Fig 1. AI-designed peptides for tumor-targeting therapeutics
Fig. 1. Des peptides conçus par l'IA pour cibler les tumeurs

In preclinical models, PQ203 demonstrated remarkable *in vivo* efficacy, significantly outperforming current alternatives. Peptide-based therapeutics offer key advantages in cancer treatment—their smaller size, compared to more common antibody-based therapies, can enable deeper tumour penetration and a potentially more favorable safety profile. Current therapies for TNBC, including those in late-stage trials, rely on shared mechanisms to which patients often develop resistance. By contrast, PQ203 delivers its cancer-killing payload through a novel target and mechanism, offering new hope for patients with few remaining treatment options.

OUR GROWING PIPELINE FOCUSES ON TISSUE SPECIFIC DELIVERY OF GENE THERAPY

Beyond our lead oncology candidate, ProteinQure is advancing a robust pipeline of programs that are rapidly progressing toward the clinic. We've focused our ProteinStudio™ peptide design platform so that the next generation of therapeutics can target virtually any cell or tissue type.

Current programs focus on delivering gene therapy to various tissues, where targeted interventions could address disorders with a genetic component. Our CNS-delivery

NOUS AVONS EXPLOITÉ L'IA POUR CONCEVOIR LE CANDIDAT PQ203, UN TRAITEMENT ONCOLOGIQUE QUI EST LE PREMIER DE SA CATÉGORIE

Notre candidat est un conjugué peptide-médicament (CPM) composé d'un peptide de ciblage et d'un agent anti-tumorigène (voir la figure 1). Conçu à partir de notre plateforme d'IA exclusive et d'acides aminés non canoniques, le candidat PQ203 est le premier traitement de sa catégorie pour le cancer du sein triple négatif (CSTN), un sous-type très agressif pour lequel les traitements sont limités et qui est l'une des principales causes des décès liés au cancer chez les femmes au Canada.

Dans les modèles précliniques, le candidat PQ203 a fait preuve d'une efficacité *in vivo* remarquable, surpassant de loin les

solutions actuelles. Les produits à base de peptides présentent des avantages indéniables dans le traitement du cancer : leur taille inférieure à celle des produits plus courants à base d'anticorps est par exemple susceptible de permettre une plus grande infiltration dans la tumeur et pourrait présenter une meilleure innocuité. Les traitements contre le CSTN, y compris ceux qui en sont aux derniers stades des essais cliniques, reposent sur des mécanismes communs, par rapport auxquels les patientes acquièrent dans bien des cas une résistance. Le candidat PQ203 agit au contraire sur le cancer grâce à une nouvelle cible et à un nouveau mécanisme, ce qui constitue un espoir pour les patientes à qui il reste peu d'options de traitement.

NOTRE PROGRAMME EN PLEINE EXPANSION EST AXÉ SUR LA THÉRAPIE GÉNÉTIQUE APPLIQUÉE À DES TISSUS PRÉCIS

ProteinQure travaille à un solide ensemble de programmes pour lesquels les essais cliniques sont dans la ligne mire, au-delà de son principal candidat-médicament en oncologie. Nous avons conçu notre plateforme de mise au point de peptides, ProteinStudio™, de manière à ce que les produits de prochaine génération puissent cibler pratiquement tout type de cellules ou de tissus.

ProteinQure’s ambition is to fulfill the promise of AI in delivering life-saving treatments to patients, while helping position Canada as a globally competitive ecosystem for the next generation of AI-powered biotech companies.

program is our most advanced and, to our knowledge, the only demonstration of successful delivery to oligodendrocytes—a cell type involved in multiple underserved indications, including multiple sclerosis (MS) and glioblastoma (brain cancer). We’ve demonstrated proof-of-concept in mice and are planning to launch another drug candidate in 2026.

WE STRIVE TO ESTABLISH CANADA AS A WORLD LEADER IN AI AND PEPTIDE DISCOVERY

Toronto has been the birthplace of groundbreaking discoveries in both AI and peptide therapeutics—from Geoffrey Hinton’s pioneering work in deep learning and neural networks to Dan Drucker’s discovery of glucagon-like peptide 1 (GLP-1), the foundation of blockbuster drugs like Ozempic. More recently, Toronto has been the starting point for some of the earliest companies at the intersection of AI and biotech, with companies like Cyclica, Atomwise, Deep Genomics, and BenchSci leading the way.

ProteinQure’s upcoming clinical trial represents a pivotal opportunity to show that Canadian built technology can be applied in Canada for commercial purposes. This is the best near term chance to build an anchor company within the country’s ecosystem—one capable of creating hundreds of high-value jobs, across biomanufacturing, software engineering, and research.

ProteinQure’s ambition is to fulfill the promise of AI in delivering life-saving treatments to patients, while helping position Canada as a globally competitive ecosystem for the next generation of AI-powered biotech companies. 

La mission de ProteinQure est de concrétiser le potentiel offert par l’IA afin de proposer des traitements vitaux aux patients, tout en contribuant à faire du Canada un écosystème compétitif à l’échelle mondiale pour la prochaine génération d’entreprises biotechnologiques s’appuyant sur l’IA.

Les programmes classiques sont axés sur l’application des thérapies géniques à des types de tissus variés, alors que des interventions ciblées pourraient permettre de traiter des troubles à composante génétique. Notre traitement contre les maladies du SNC est le plus avancé et, à notre connaissance, le seul qui agit de façon efficace sur les oligodendrocytes, un type de cellules associé à de nombreux problèmes ayant des besoins non comblés, comme la sclérose en plaques (SEP) et le glioblastome (cancer du cerveau). Nous avons réalisé à cet égard une démonstration de faisabilité chez la souris et nous estimons pouvoir proposer un autre candidat-médicament en 2026.

NOUS SOUHAITONS QUE LE CANADA DEVIENNE UN LEADER MONDIAL DANS LE DOMAINE DE L’IA ET DE LA RECHERCHE SUR LES PEPTIDES

Des découvertes révolutionnaires ont vu le jour à Toronto, tant dans le domaine de l’IA que dans celui des traitements peptidiques, qu’il s’agisse des travaux pionniers de Geoffrey Hinton sur l’apprentissage profond et les réseaux neuronaux ou de la découverte par Dan Drucker du peptide -1 apparenté au glucagon (GLP-1), qui est à l’origine de médicaments à succès tels qu’Ozempic. Toronto a aussi récemment vu naître certaines des premières entreprises à la croisée de l’IA et de la biotechnologie, telles que Cyclica, Atomwise, Deep Genomics et BenchSci, qui ont ouvert la voie.

Les prochains essais cliniques de ProteinQure représentent une occasion unique de montrer qu’une technologie élaborée au Canada peut trouver une issue commerciale. Il s’agit de la meilleure occasion à court terme de créer une entreprise phare dans le secteur au pays, une entreprise créatrice de centaines d’emplois à haute valeur ajoutée dans les domaines de la biofabrication, de l’ingénierie logicielle et de la recherche.

La mission de ProteinQure est de concrétiser le potentiel offert par l’IA afin de proposer des traitements vitaux aux patients, tout en contribuant à faire du Canada un écosystème compétitif à l’échelle mondiale pour la prochaine génération d’entreprises biotechnologiques s’appuyant sur l’IA. 